

Public Summary SwissPAR du 24.07.2024

Raxone[®] (principe actif : idébénone)

Autorisation en Suisse : 01.03.2024

Comprimés pelliculés pour le traitement des troubles de la vision liés à une neuropathie optique héréditaire de Leber

À propos du médicament

Raxone, dont le principe actif est l'idébénone, est autorisé pour le traitement des troubles de la vision chez les patients adolescents à partir de 12 ans et les patients adultes atteints de neuropathie optique héréditaire de Leber (NOHL). Cette anomalie génétique héréditaire est très rare et touche plus souvent les hommes que les femmes. La maladie entraîne un dysfonctionnement des

nerfs optiques, qui s'accompagne d'une diminution de l'acuité visuelle allant jusqu'à la cécité.

Cette maladie étant une maladie rare, le médicament a été autorisé en tant que médicament orphelin (Orphan Drug). Les médicaments orphelins sont des médicaments importants contre des maladies rares.

Action

Les patients atteints de NOHL présentent des anomalies génétiques qui influent de manière négative sur le fonctionnement des mitochondries (organelles cellulaires qui agissent comme des centrales énergétiques pour les cellules). L'anomalie génétique en question entraîne un manque d'énergie dans les cellules concernées, auquel s'ajoute une accumulation de produits

oxygénés nocifs (radicaux libres), source de stress oxydatif dans la cellule. Les cellules des nerfs optiques réagissent de manière particulièrement sensible au stress oxydatif. Le principe actif idébénone améliore le métabolisme énergétique et réduit le stress oxydatif des cellules concernées. Il agit donc comme un antioxydant et prévient une nouvelle atteinte cellulaire.

Mode d'emploi

Raxone est soumis à ordonnance. Raxone est disponible sous forme de comprimé pelliculé en dose de 150 mg. La dose recommandée d'idébénone est de 900 mg par jour (2 comprimés pelliculés à 150 mg trois fois par

jour). Les comprimés pelliculés sont à prendre avec les repas, sans les croquer.

Lors de la prise de Raxone, l'urine peut prendre une couleur brun rouge. Cette colora-

tion ne représente aucun danger et ne nécessite pas de changer de traitement. Il convient toutefois d'en informer le médecin traitant.

Effacité

L'efficacité de Raxone en cas de NOHL a été évaluée dans le cadre de deux études. Dans l'étude RHODOS, 53 personnes de 14 ans et plus dont la durée de la maladie n'était pas supérieure à 5 ans ont été traitées par Raxone pendant 24 mois. Dans le groupe témoin, 28 personnes ont reçu un médicament factice (placebo). Le critère d'évaluation primaire¹ de l'étude était la *meilleure récupération de l'acuité visuelle*. On a à cet égard seulement observé une tendance en faveur du groupe Raxone par rapport au groupe placebo, qui n'était cependant pas statistiquement significative. En revanche, pour le premier critère d'évaluation secondaire *Évolution de la meilleure acuité visuelle*, les personnes traitées par Raxone ont obtenu des

résultats significativement meilleurs que les participantes et participants à l'étude sous placebo.

L'étude ouverte non contrôlée par placebo LEROS a examiné l'action de Raxone chez 198 patientes et patients de 12 ans et plus dont la durée de la maladie n'était pas supérieure à 5 ans. Les résultats ont confirmé l'efficacité de Raxone pour favoriser la récupération et prévenir la perte d'acuité visuelle chez les patientes et patients atteints de NOHL dont la durée de la maladie n'est pas supérieure à 5 ans.

On ne dispose d'aucune donnée d'efficacité pour une durée de traitement de plus de 24 mois.

Précautions, effets indésirables et risques

Raxone ne doit pas être utilisé en cas d'hypersensibilité au principe actif ou à l'un des excipients.

Les effets indésirables les plus fréquents sont les céphalées, chez 12 % des patientes et patients, ainsi que la rhinopharyngite (inflammation de la muqueuse du nez et du pharynx), chez 11 % des patientes et patients.

Des élévations des valeurs hépatiques potentiellement sévères peuvent également survenir.

Toutes les précautions applicables ainsi que les risques et les autres effets indésirables possibles sont énumérés dans l'information destinée aux patients (notice d'emballage) ainsi que dans l'information professionnelle.

Justification de la décision d'autorisation

Les deux études d'efficacité RHODOS et LEROS ont mis en évidence des effets positifs pour les patientes et patients de plus de 12 ans atteints de NOHL dont la durée de la maladie n'était pas supérieure à 5 ans pour

l'œil touché en dernier lieu et pour une durée de traitement maximale de 24 mois. Au vu des données disponibles, et lorsque tous les risques et l'ensemble des mesures de pré-

¹ Critère d'évaluation principal de l'efficacité : le critère d'évaluation principal est l'objectif suprême de l'étude, défini avant son début. Lorsque le critère d'évaluation principal est rempli ou dépassé, l'étude prouve que le traitement est efficace. Les critères d'évaluation secondaires portent en re-

vanche sur d'autres effets qui ne prouvent pas incontestablement l'efficacité ou ne permettent pas de tirer de conclusion claire quant au véritable critère cible (critère d'évaluation principal).

caution à respecter sont pris en considération, les bénéfices offerts par Raxone sont supérieurs aux risques. Swissmedic a donc

autorisé en Suisse le médicament Raxone, dont le principe actif est l'idébénone.

Informations complémentaires sur le médicament

Information pour les personnes exerçant une profession médicale : [Information professionnelle de Raxone®](#)

Information destinée aux patients (notice d'emballage) : [Information destinée aux patients de Raxone®](#)

Les professionnels de santé sont là pour répondre à toute autre question.

Les présentes informations sont basées sur les informations disponibles à la date de publication du SwissPAR. Les nouvelles connaissances concernant le médicament autorisé ne sont pas intégrées dans le Public Summary SwissPAR.

Les médicaments autorisés en Suisse sont sous la surveillance de Swissmedic. Swissmedic prendra les mesures qui s'imposent en cas de constatation de nouveaux effets indésirables ou en présence d'autres signaux de sécurité. De plus, Swissmedic recensera et publiera toute nouvelle connaissance susceptible d'avoir un impact sur la qualité, l'efficacité ou la sécurité d'emploi de ce médicament. Au besoin, l'information sur le médicament sera adaptée.