



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/549763/2023
EMA/H/C/005679

Agamree (*vamorolone*)

Общ преглед на Agamree и основания за разрешаване в ЕС

Какво представлява Agamree и за какво се използва?

Agamree е лекарство за лечение на мускулна дистрофия тип Дюшен при пациенти на възраст 4 години и повече. Мускулната дистрофия тип Дюшен е генетично заболяване, което причинява постепенно отслабване и загуба на мускулната функция.

Мускулната дистрофия тип Дюшен се счита за рядко заболяване и Agamree е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) на 22 август 2014 г. Допълнителна информация за лекарствата сираци можете да намерите на [уебсайта](#) на ЕМА.

Agamree съдържа активното вещество вamorолон (*vamorolone*).

Как се използва Agamree?

Лекарственият продукт се отпуска по лекарско предписание. Лечението трябва да бъде започнато от лекар специалист с опит в лечението на мускулна дистрофия тип Дюшен.

Лекарството се предлага под формата на суспензия, която се приема през устата веднъж дневно. Лекарят ще предпише дозата въз основа на телесното тегло на пациента.

За повече информация относно употребата на Agamree вижте листовката или се свържете с вашия лекар или фармацевт.

Как действа Agamree?

Активното вещество в Agamree, вamorолон, е модифицирано кортикостероидно лекарство и намалява възпалението, като блокира производството на някои възпалителни вещества, наречени цитокини. Начинът на действие при пациенти с мускулна дистрофия тип Дюшен не е напълно изяснен.

Какви ползи от Agamree са установени в проучванията?

В едно основно проучване е показано, че Agamree е по-ефективен от плацебо (сляпо лечение) за лечение на мускулна дистрофия тип Дюшен при пациенти на възраст между 4 и 7 години, които са били способни да вървят. Проучването, обхващащо 121 пациенти, разглежда показаната от тях

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands
Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us
Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



скорост при TTSTAND (тест за времето за изправяне), което е скоростта, с която те могат да се изправят от легнало положение.

След 24 седмици лечение средната скорост при TTSTAND се увеличава от 0,19 на 0,24 изправяния на секунда при пациентите, приемащи Agamree, докато при пациентите, приемащи плацебо, тя намалява леко от 0,20 на 0,19 изправяния на секунда. Този ефект се запазва до седмица 48.

Какви са рисковете, свързани с Agamree?

За пълния списък на нежеланите реакции и ограниченията при Agamree вижте листовката.

Най-честите нежелани реакции при Agamree (които може да засегнат повече от 1 на 10 души) включват кушингоиден хабитус (характеристики, причинени от продължителната употреба на кортикостероид, например напълняване на лицето и синини), повръщане, увеличено телло и раздразнителност.

Лекарството не трябва да се използва при пациенти с тежко увредена чернодробна функция или които наскоро са получили жива ваксина (ваксина, която използва отслабена форма на съответния организъм).

Защо Agamree е разрешен за употреба в ЕС?

Европейската агенция по лекарствата реши, че ползите от употребата на Agamree са по-големи от рисковете и този продукт може да бъде разрешен за употреба в ЕС.

Основното проучване при пациенти на възраст между 4 и 7 години показва, че Agamree е ефективен за подобряване на способността им за движение. Като се има предвид, че вამоролон действа по същия начин като понастоящем използваните кортикостероиди, Агенцията заключи, че може да се използва и при по-възрастни пациенти.

По отношение на безопасността Agamree е съпоставим с конвенционалните кортикостероиди и не предизвиква някои от нежеланите реакции, които те причиняват (например ефекти върху костите и растежа).

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Agamree?

Фирмата, която предлага Agamree на пазара, ще предостави на пациентите сигнална карта с информация за необходимостта от ежедневно лечение и за риска от надбъбречна криза — нежелана реакция, която може да възникне при рязко спиране на кортикостероидното лечение.

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Agamree, които следва да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени също в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Както при всички лекарства, данните във връзка с употребата на Agamree непрекъснато се проследяват. Съобщените нежелани реакции, свързани с употребата на Agamree, внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

Допълнителна информация за Agamree:

Agamree можете да намерите на уебсайта на Агенцията:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/agamree