



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/549765/2023
EMA/H/C/005679

Agamree (*vamorolon*)

En oversigt over Agamree, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Agamree, og hvad anvendes det til?

Agamree er et lægemiddel til behandling af Duchennes muskeldystrofi hos patienter på 4 år og derover. Duchennes muskeldystrofi er en arvelig sygdom med gradvis svækkelse og tab af muskelfunktionen.

Duchennes muskeldystrofi er en sjælden sygdom, og Agamree blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 22. august 2014. Der findes mere information om lægemidler til sjældne sygdomme på EMA's [websted](#).

Agamree indeholder det aktive stof vamorolon.

Hvordan anvendes Agamree?

Lægemidlet fås kun på recept. Behandlingen bør kun indledes af en speciallæge med erfaring inden for behandling af Duchennes muskeldystrofi.

Lægemidlet fås som en suspension, der indtages gennem munden én gang dagligt. Lægen vil ordinere den rette dosis ud fra patientens vægt.

Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Agamree, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

Hvordan virker Agamree?

Det aktive stof i Agamree, vamorolon, er et modificeret kortikosteroidlægemiddel, som reducerer betændelse ved at blokere produktionen af visse betændelsesfremkaldende stoffer kaldet cytokiner. Det vides ikke med sikkerhed, hvordan det virker hos patienter med Duchennes muskeldystrofi.

Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Agamree?

Et hovedstudie viste, at Agamree var mere effektivt end placebo (en uvirksom behandling) til behandling af Duchennes muskeldystrofi hos patienter i alderen 4-7 år, som var i stand til at gå. Studiet, der omfattede 121 patienter, så nærmere på deres TTSTAND-hastighed ("time to stand"), dvs. hvor hurtigt de kan rejse sig op fra liggende stilling til stående stilling.

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



Efter 24 ugers behandling steg den gennemsnitlige TTSTAND-hastighed fra 0,19 til 0,24 skift til stående stilling pr. sekund hos patienter, der tog Agamree, mens den faldt en smule fra 0,20 til 0,19 skift til stående stilling pr. sekund hos dem, der fik placebo. Denne effekt varede ved indtil uge 48.

Hvilke risici er der forbundet med Agamree?

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Agamree fremgår af indlægssedlen.

De mest almindelige bivirkninger ved Agamree (som kan forekomme hos mere end 1 ud af 10 personer) er cushingoide træk (egenskaber, der skyldes langvarig brug af et kortikosteroid, f.eks. opbobling af fedt i ansigtet og blå mærker), opkastning, vægtstigning og irritabilitet.

Lægemidlet må ikke anvendes til patienter, som har svært nedsat leverfunktion, eller som for nylig har fået en levende vaccine (en vaccine, der indeholder en svækket form af organismen).

Hvorfor er Agamree godkendt i EU?

Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede, at fordelene ved Agamree opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Hovedstudiet blandt patienter mellem 4 og 7 år viste, at Agamree er effektivt til at forbedre deres evne til at bevæge sig. Da vamorolon virker på samme måde som allerede anvendte kortikosteroider, konkluderede agenturet, at det også kan anvendes til ældre patienter.

Sikkerheden ved Agamree kan sammenlignes med sikkerheden ved konventionelle kortikosteroider, og det giver ikke nogle af de bivirkninger, som konventionelle kortikosteroider giver (f.eks. virkninger på knogler og vækst).

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre, at Agamree anvendes sikkert og effektivt?

Virksomheden, der markedsfører Agamree, vil forsyne patienterne med et advarselskort med information om behovet for daglig behandling og risikoen for en binyrekrise, en bivirkning, som kan forekomme hos patienter, der pludselig standser behandling med kortikosteroid.

Der er desuden anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre, at Agamree anvendes sikkert og effektivt.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende anvendelsen af Agamree løbende overvåget. De formodede bivirkninger ved Agamree vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Øvrig information om Agamree

Yderligere oplysninger om Agamree findes på agenturets websted:

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