



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/549766/2023
EMA/H/C/005679

Agamree (*Vamorolon*)

Übersicht über Agamree und warum es in der EU zugelassen ist

Was ist Agamree und wofür wird es angewendet?

Agamree ist ein Arzneimittel zur Behandlung der Duchenne-Muskeldystrophie bei Patienten ab einem Alter von 4 Jahren. Die Duchenne-Muskeldystrophie ist eine genetische Erkrankung, die schrittweise zu Schwäche und Verlust der Muskelfunktion führt.

Duchenne-Muskeldystrophie ist selten, und Agamree wurde am 22. August 2014 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen. Weitere Informationen zur Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden finden Sie auf den [Internetseiten](#) der EMA.

Agamree enthält den Wirkstoff Vamorolon.

Wie wird Agamree angewendet?

Das Arzneimittel ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich. Die Behandlung sollte nur von einem Facharzt eingeleitet werden, der Erfahrung in der Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie hat.

Das Arzneimittel ist als Suspension erhältlich, die einmal täglich einzunehmen ist. Die vom Arzt verschriebene Dosis richtet sich nach dem Körpergewicht des Patienten.

Weitere Informationen zur Anwendung von Agamree entnehmen Sie der Packungsbeilage, oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Wie wirkt Agamree?

Der Wirkstoff in Agamree, Vamorolon, ist ein modifiziertes Corticosteroid-Arzneimittel und vermindert die Entzündung, indem er die Produktion bestimmter entzündlicher Stoffe, der sogenannten Zytokine, hemmt. Die Art und Weise, wie es bei Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie wirkt, ist nicht vollständig geklärt.

Welchen Nutzen hat Agamree in den Studien gezeigt?

Eine Hauptstudie zeigte, dass Agamree bei der Behandlung der Duchenne-Muskeldystrophie bei Patienten im Alter zwischen 4 und 7 Jahren, die gehen konnten, wirksamer war als Placebo (eine Scheinbehandlung). In der Studie, an der 121 Patienten teilnahmen, wurde ihre TTSTAND-

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



Geschwindigkeit (Zeit bis zum Stehen) untersucht, d. h. die Geschwindigkeit, mit der sie von einer liegenden Position aus aufstehen können.

Nach 24-wöchiger Behandlung erhöhte sich die durchschnittliche TTSTAND-Geschwindigkeit bei den Patienten, die Agamree einnahmen, von 0,19 auf 0,24 Aufstehbewegungen pro Sekunde, während sie bei den Patienten, die Placebo erhielten, leicht von 0,20 auf 0,19 Aufstehbewegung pro Sekunde zurückging. Dieser Effekt wurde bis zur 48. Woche beibehalten.

Welche Risiken sind mit Agamree verbunden?

Die vollständige Auflistung der Nebenwirkungen und Einschränkungen im Zusammenhang mit Agamree ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Sehr häufige Nebenwirkungen von Agamree (die mehr als 1 von 10 Behandelten betreffen können) sind Cushingoid-Symptome (Merkmale, die durch die langfristige Anwendung eines Corticosteroids verursacht werden, wie etwa Fettansammlung im Gesicht und blaue Flecken), Erbrechen, Gewichtszunahme und Reizbarkeit.

Das Arzneimittel darf nicht bei Patienten angewendet werden, deren Leberfunktion stark beeinträchtigt ist oder die vor Kurzem einen Lebendimpfstoff (einen Impfstoff, der eine abgeschwächte Form des Organismus enthält) erhalten haben.

Warum wurde Agamree in der EU zugelassen?

Die Europäische Arzneimittel-Agentur gelangte zu dem Schluss, dass der Nutzen von Agamree gegenüber den Risiken überwiegt und dass es in der EU zugelassen werden kann.

Die Hauptstudie bei Patienten im Alter zwischen 4 und 7 Jahren zeigte, dass Agamree ihre Bewegungsfähigkeit wirksam verbessert. Angesichts der Tatsache, dass Vamorolon auf dieselbe Weise wirkt wie derzeit angewendete Corticosteroide, gelangte die Agentur zu dem Schluss, dass es auch bei älteren Patienten angewendet werden kann.

In Bezug auf die Sicherheit ist festzustellen, dass Agamree im Vergleich zu herkömmlichen Corticosteroiden gut abschneidet und einige der Nebenwirkungen, die durch herkömmliche Kortikosteroide verursacht werden (wie Auswirkungen auf Knochen und Wachstum), nicht verursacht.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Agamree ergriffen?

Das Unternehmen, das Agamree in Verkehr bringt, wird Patienten einen Patientenpass aushändigen, der Informationen über die Notwendigkeit einer täglichen Behandlung und das Risiko einer Nebennierenkrise enthält. Dabei handelt es sich um eine Nebenwirkung, die bei Patienten auftreten kann, die eine Corticosteroid-Behandlung plötzlich absetzen.

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Agamree, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden auch in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Wie bei allen Arzneimitteln werden Daten zur Anwendung von Agamree kontinuierlich überwacht. Gemeldete Verdachtsfälle von Nebenwirkungen von Agamree werden sorgfältig ausgewertet und alle notwendigen Maßnahmen zum Schutz der Patienten ergriffen.

Weitere Informationen über Agamree

Weitere Informationen zu Agamree finden Sie auf den Internetseiten der Agentur:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/agamree.