



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/549767/2023
EMA/H/C/005679

Agamree (βαμορολόνη)

Ανασκόπηση του Agamree και αιτιολογικό έγκρισης στην ΕΕ

Τι είναι το Agamree και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Agamree είναι φάρμακο για τη θεραπεία της μυϊκής δυστροφίας Duchenne σε ασθενείς ηλικίας από 4 ετών και άνω. Η μυϊκή δυστροφία Duchenne είναι μια γενετική νόσος η οποία σταδιακά προκαλεί αδυναμία και απώλεια της μυϊκής λειτουργίας.

Η μυϊκή δυστροφία Duchenne είναι σπάνια και το Agamree χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες παθήσεις) στις 22 Αυγούστου 2014. Περισσότερες πληροφορίες για τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού μπορείτε να βρείτε [στον δικτυακό τόπο](#) του EMA.

Το Agamree περιέχει τη δραστική ουσία βαμορολόνη.

Πώς χρησιμοποιείται το Agamree;

Το φάρμακο χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή. Η έναρξη της θεραπείας πρέπει να πραγματοποιείται μόνο από ειδικευμένους γιατρούς με πείρα στη διαχείριση της μυϊκής δυστροφίας Duchenne.

Το φάρμακο διατίθεται υπό μορφή εναιωρήματος που χορηγείται από το στόμα μία φορά την ημέρα. Ο γιατρός θα συνταγογραφήσει τη δόση με βάση το σωματικό βάρος του ασθενούς.

Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Agamree, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Πώς δρα το Agamree;

Η δραστική ουσία του Agamree, η βαμορολόνη, είναι ένα τροποποιημένο κορτικοστεροειδές φάρμακο και μειώνει τη φλεγμονή αναστέλλοντας την παραγωγή ορισμένων φλεγμονωδών ουσιών που ονομάζονται κυτοκίνες. Ο τρόπος δράσης της σε ασθενείς με μυϊκή δυστροφία Duchenne δεν είναι πλήρως κατανοητός.

Ποια είναι τα οφέλη του Agamree σύμφωνα με τις μελέτες;

Μια κύρια μελέτη κατέδειξε ότι το Agamree ήταν αποτελεσματικότερο από το εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία) στη θεραπεία της μυϊκής δυστροφίας Duchenne σε ασθενείς ηλικίας 4 έως 7 ετών

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



που ήταν σε θέση να βαδίσουν. Η μελέτη, στην οποία μετείχαν 121 ασθενείς, εξέτασε την ταχύτητα TTSTAND (ο χρόνος που χρειάζεται ο ασθενής για να ανασηκωθεί σε όρθια θέση), η οποία είναι η ταχύτητα με την οποία μπορούν να σηκωθούν οι ασθενείς από οριζόντια θέση.

Μετά από 24 εβδομάδες θεραπείας, η μέση ταχύτητα TTSTAND αυξήθηκε από 0,19 σε 0,24 σηκώματα σε όρθια θέση ανά δευτερόλεπτο στους ασθενείς που έλαβαν Agamree, ενώ μειώθηκε ελαφρώς από 0,20 σε 0,19 σηκώματα σε όρθια θέση ανά δευτερόλεπτο στους ασθενείς που έλαβαν εικονικό φάρμακο. Η επίδραση αυτή διατηρήθηκε έως και την εβδομάδα 48.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Agamree;

Ο πλήρης κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών και των περιορισμών που αναφέρθηκαν με το Agamree περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Οι πιο συχνές ανεπιθύμητες ενέργειες με το Agamree (ενδέχεται να παρατηρηθούν σε περισσότερους από 1 στους 10 ασθενείς) περιλαμβάνουν χαρακτηριστικά που μοιάζουν με το σύνδρομο Cushing (χαρακτηριστικά που προκαλούνται από τη μακροχρόνια χρήση ενός κορτικοστεροειδούς, όπως συσσώρευση λίπους στο πρόσωπο και μώλωπες), έμετος, αυξημένο σωματικό βάρος και ευερεθιστότητα.

Το φάρμακο δεν πρέπει να χορηγείται σε ασθενείς με σοβαρή ηπατική δυσλειτουργία ή σε ασθενείς που εμβολιάστηκαν πρόσφατα με ζωντανό εμβόλιο (εμβόλιο που χρησιμοποιεί μια εξασθενημένη μορφή του οργανισμού).

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Agamree στην ΕΕ;

Ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων έκρινε ότι τα οφέλη του Agamree υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την έγκριση της χρήσης του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ.

Η κύρια μελέτη σε ασθενείς ηλικίας από 4 έως 7 ετών έδειξε ότι το Agamree είναι αποτελεσματικό στη βελτίωση της ικανότητας μετακίνησής τους. Δεδομένου ότι η βαμορολόνη δρα κατά τον ίδιο τρόπο που δρουν και τα κορτικοστεροειδή που χρησιμοποιούνται επί του παρόντος, ο Οργανισμός κατέληξε στο συμπέρασμα ότι το Agamree μπορεί να χρησιμοποιηθεί και σε ασθενείς μεγαλύτερης ηλικίας.

Σε ό,τι αφορά την ασφάλεια, το Agamree είναι επαρκώς συγκρίσιμο με συμβατικά κορτικοστεροειδή και δεν προκαλεί ορισμένες από τις ανεπιθύμητες ενέργειες που προκαλούν τα συμβατικά κορτικοστεροειδή (όπως επιδράσεις στα οστά και στην ανάπτυξη).

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Agamree;

Η εταιρεία που εμπορεύεται το Agamree θα παράσχει στους ασθενείς μια κάρτα προειδοποίησης η οποία περιέχει πληροφορίες σχετικά με την ανάγκη καθημερινής θεραπείας και τον κίνδυνο επινεφριδιακής κρίσης, μια ανεπιθύμητη ενέργεια που μπορεί να εμφανιστεί σε ασθενείς που διακόπτουν απότομα τη θεραπεία με κορτικοστεροειδή.

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν, επίσης, συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Agamree.

Όπως για όλα τα φάρμακα, τα δεδομένα για τη χρήση του Agamree τελούν υπό συνεχή παρακολούθηση. Οι ανεπιθύμητες ενέργειες που αναφέρονται για το Agamree θα αξιολογούνται προσεκτικά και θα λαμβάνονται όλα τα απαραίτητα μέτρα για την προστασία των ασθενών.

Λοιπές πληροφορίες για το Agamree

Περισσότερες πληροφορίες για το Agamree διατίθενται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/agamree