



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/549769/2023
EMA/H/C/005679

Agamree (*vamoroloon*)

Ülevaade ravimist Agamree ja ELis müügiloa väljastamise põhjendus

Mis on Agamree ja milleks seda kasutatakse?

Agamree on ravim, mida kasutatakse Duchenne'i lihasdüstroofia raviks vähemalt 4-aastastel patsientidel. Duchenne'i lihasdüstroofia on geneetiline haigus, mis põhjustab progresseeruvat lihasenõrkust ja lihasfunktsiooni kadu.

Duchenne'i lihasdüstroofia esineb harva ja Agamree nimetati 22. augustil 2014 harvikravimiks. Lisateave harvikravimiks nimetamise kohta on EMA [veebilehel](#).

Agamree sisaldab toimeainena vamorolooni.

Kuidas Agamreed kasutatakse?

Agamree on retseptiravim. Ravi tohib alustada üksnes eriarst, kes on kogenud Duchenne'i lihasdüstroofia ravis.

Ravimit turustatakse suukaudse suspensioonina, mida võetakse üks kord ööpäevas. Arst määrab annuse patsiendi kehamassi alusel.

Lisateavet Agamree kasutamise kohta saate pakendi infolehel või küsige oma arstilt või apteekrilt.

Kuidas Agamree toimib?

Agamree toimeaine vamoroloon on modifitseeritud kortikosteroidravim ja vähendab põletikku, blokeerides teatud põletikuliste ainete, tsütokiinide teket. Ravimi toimemehhanism Duchenne'i lihasdüstroofiaga patsientidel ei ole täielikult teada.

Mis on uuringute põhjal Agamree kasulikkus?

Ühes põhiuuringus tõendati, et Agamree oli 4–7-aastastel kõndimisvõimelistel patsientidel Duchenne'i lihasdüstroofia ravis efektiivsem kui platseebo (näiv ravim). Uuringus, milles osales 121 patsienti, vaadeldi nende püstitõusmise kiirust (Time to Stand Test, TTSTAND), st kiirust, millega nad saavad lamamisasendist üles tõusta.



24-nädalase ravi järel suurenes keskmine püstitõusmise kiirus Agamreed võtnud patsientidel 0,19-lt 0,24-le sekundis, platseeborühma patsientidel 0,20-lt 0,19-le sekundis. See mõju säilis kuni 48. nädalani.

Mis on Agamree riskid?

Agamree kõrvalnähtude ja piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

Agamree kõige sagedamad kõrvalnähud (võivad esineda enam kui 1 patsiendil 10st) on näiteks Cushingi sündroomi nähud (kortikosteroidi pikaajalisest kasutamisest tingitud nähud, näiteks rasva kogunemine näole ja verevalumid), oksendamine, kehamassi suurenemine ja ärrituvus.

Ravimit ei tohi kasutada patsiendid, kellel on raske maksapuudulikkus või kes on hiljuti saanud elusvaktsiini (vaktsiin, milles kasutatakse organismi nõrgestatud vormi).

Miks Agamree ELis heaks kiideti?

Euroopa Ravimiamet otsustas, et Agamree kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid ja ravimi kasutamise võib ELis heaks kiita.

4–7-aastaste patsientide põhiuuringus tõendati, et Agamree on efektiivne nende liikumisvõime parandamisel. Arvestades, et vamoroloon toimib samamoodi kui praegu kasutatavad kortikosteroidid, järeldas amet, et seda võib kasutada ka vanematel patsientidel.

Ohutuse seisukohast on Agamree võrreldav tavapäraste kortikosteroididega ja see ei tekita teatud kõrvalnähte, mida põhjustavad tavalised kortikosteroidid (nt toimed luule ja kasvule).

Mis meetmed võetakse, et tagada Agamree ohutu ja efektiivne kasutamine?

Agamree turustaja annab patsientidele hoiatuskaardi, mis sisaldab teavet igapäevase ravi vajaduse ja adrenaalkriisi riski kohta. See kõrvalnäht võib esineda patsientidel, kes katkestavad kortikosteroidravi järsult.

Agamree ohutu ja efektiivse kasutamise soovitusel ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on samuti lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite korral, tehakse Agamree kasutamise kohta pidevat järelevalvet. Agamree oletatavaid teatatud kõrvalnähte hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks võetakse vajalikke meetmeid.

Muu teave Agamree kohta

Lisateave Agamree on ameti veebilehel: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/agamree