



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/549770/2023
EMA/H/C/005679

Agamree (*vamoroloni*)

Yleistiedot Agamree-valmisteesta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Agamree on ja mihin sitä käytetään?

Agamree on lääke, jolla hoidetaan Duchennen lihasdystrofiaa yli 4-vuotiailla potilailla. Duchennen lihasdystrofia on geneettinen sairaus, joka aiheuttaa vähitellen lihasheikkoutta ja surkastuttaa lihakset.

Duchennen lihasdystrofia on harvinainen sairaus, ja Agamree nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 22. elokuuta 2014. Lisätietoa harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on EMAn [verkkosivustolla](#).

Agamreen vaikuttava aine on vamoroloni.

Miten Agamreeta käytetään?

Lääkevalmistetta saa ainoastaan lääkärin määräyksestä. Hoidon saa aloittaa vain erikoislääkäri, jolla on kokemusta Duchennen lihasdystrofian hoidosta.

Lääkettä on saatavana suspensionä, joka otetaan suun kautta kerran vuorokaudessa. Lääkäri määrää annoksen potilaan painon perusteella.

Lisätietoja Agamreen käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Agamree vaikuttaa?

Agamreen vaikuttava aine vamoroloni on muunneltu kortikosteroidilääke, joka vähentää tulehdusta estämällä sytokiineiksi kutsuttujen tulehdusta aiheuttavien aineiden tuotannon. Sen vaikutustapaa Duchennen lihasdystrofiaa sairastavilla potilailla ei täysin tunneta.

Mitä hyötyä Agamreesta on havaittu tutkimuksissa?

Päätutkimus osoitti, että Agamree oli lumelääkettä tehokkaampi Duchennen lihasdystrofian hoidossa 4–7-vuotiailla potilailla, jotka pystyivät kävelemään. Tutkimuksessa, johon osallistui 121 potilasta, tutkittiin potilaiden TTSTAND-nopeutta, joka tarkoittaa aikaa, joka heiltä kuluu makuulta seisaalle nousemiseen.



24 viikon hoidon jälkeen keskimääräinen TTSTAND-nopeus kasvoi 0,19:stä noususta 0,24:ään nousuun sekunnissa Agamreeta saaneilla potilailla, kun lumelääkettä saaneilla potilailla nopeus laski hieman 0,20:stä noususta 0,19:ään sekunnissa. Tämä vaikutus säilyi viikolle 48 asti.

Mitä riskejä Agamree-valmisteeseen liittyy?

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Agamreen ilmoitetuista haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Agamreen yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin 1 potilaalle 10:stä) ovat Cushingin oireyhtymän oireet (kortikosteroidin pitkäaikaisesta käytöstä johtuvat piirteet, kuten rasvan kertyminen kasvoihin ja mustelmien muodostuminen), oksentelu, painonnousu ja ärtyisyys.

Lääkettä ei saa antaa potilaille, joilla on vaikea maksan vajaatoiminta tai jotka ovat äskettäin saaneet eläviä taudinaiheuttajia sisältävän rokotteen (rokote, jossa käytetään organismin heikennettyä muotoa).

Miksi Agamree on hyväksytty EU:ssa?

Euroopan lääkevirasto katsoi, että Agamreen hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Päätutkimuksessa, johon osallistui 4–7-vuotiaita potilaita, osoitettiin, että Agamree parantaa tehokkaasti heidän liikkumiskykyään. Koska vamoroloni vaikuttaa samalla tavalla kuin nykyisin käytössä olevat kortikosteroidit, virasto katsoi, että sitä voidaan käyttää myös vanhemmilla potilailla.

Turvallisuuden osalta Agamree on verrattavissa perinteisiin kortikosteroideihin eikä se aiheuta joitakin tavanomaisille kortikosteroideille ominaisia haittavaikutuksia (kuten vaikutukset luihin ja kasvuun).

Miten voidaan varmistaa Agamreen turvallinen ja tehokas käyttö?

Agamreeta markkinoiva yhtiö toimittaa potilaille potilaskortin, jossa on tietoa päivittäisen hoidon tarpeesta ja lisämunuaiskriisin riskistä. Se on haittavaikutus, joka voi ilmaantua potilaille, jotka lopettavat kortikosteroidihoidon äkillisesti.

Suosituksien ja varotoimien, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Agamreen käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät myös valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Agamreen käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Agamree-valmisteen ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Agamreesta

Lisätietoja Agamreesta on viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/agamree