

EMA/549771/2023
EMEA/H/C/005679

Agamree (*vamorolone*)

Aperçu d'Agamree et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

Qu'est-ce qu'Agamree et dans quel cas est-il utilisé?

Agamree est un médicament destiné à traiter la dystrophie musculaire de Duchenne chez les patients âgés de 4 ans ou plus. La dystrophie musculaire de Duchenne est une maladie génétique qui provoque progressivement la faiblesse et la perte de la fonction musculaire.

La dystrophie musculaire de Duchenne est rare et Agamree a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 22 août 2014. Des informations complémentaires sur les désignations de médicaments orphelins sont disponibles sur le [site web](#) de l'EMA.

Agamree contient la substance active vamorolone.

Comment Agamree est-il utilisé?

Le médicament n'est délivré que sur ordonnance. Le traitement ne doit être instauré que par un médecin spécialiste expérimenté dans la prise en charge de la dystrophie musculaire de Duchenne.

Le médicament est disponible sous la forme d'une suspension à prendre par voie orale une fois par jour. Le médecin prescrira la dose en fonction du poids corporel du patient.

Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation d'Agamree, voir la notice ou contacter votre médecin ou votre pharmacien.

Comment Agamree agit-il?

La substance active d'Agamree, le vamorolone, est un médicament corticostéroïde modifié qui réduit l'inflammation en bloquant la production de certaines substances inflammatoires appelées cytokines. Son mode d'action chez les patients atteints de dystrophie musculaire de Duchenne n'est pas entièrement compris.

Quels sont les bénéfices d'Agamree démontrés au cours des études?

Une étude principale a montré qu'Agamree était plus efficace qu'un placebo (un traitement fictif) dans le traitement de la dystrophie musculaire de Duchenne chez les patients âgés de 4 à 7 ans capables de



marcher. L'étude, portant sur 121 patients, a examiné leur vitesse de TTSTAND (vitesse de mise en station debout), qui correspond à la vitesse à laquelle le patient peut se lever à partir d'une position allongée.

Après 24 semaines de traitement, la vitesse moyenne de TTSTAND a augmenté de 0,19 à 0,24 élévation/seconde chez les patients ayant pris Agamree, tandis qu'elle a légèrement diminué, passant de 0,20 à 0,19 par élévation/seconde, chez les patients sous placebo. Cet effet a été maintenu jusqu'à la semaine 48.

Quels sont les risques associés à l'utilisation d'Agamree?

Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions associés à Agamree, voir la notice.

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Agamree (qui peuvent toucher plus d'une personne sur 10) sont notamment les suivants: syndrome de Cushing (troubles causés par l'utilisation à long terme d'un corticostéroïde, tels que l'accumulation de graisses sur le visage et l'apparition d'écchymoses), vomissements, prise de poids et irritabilité.

Le médicament ne doit pas être utilisé chez les patients présentant une insuffisance hépatique grave ou ayant récemment reçu un vaccin vivant (un vaccin utilisant une forme affaiblie du virus).

Pourquoi Agamree est-il autorisé dans l'UE?

L'Agence européenne des médicaments a estimé que les bénéfices d'Agamree sont supérieurs à ses risques et que son utilisation peut être autorisée au sein de l'UE.

L'étude principale menée chez des patients âgés de 4 à 7 ans a montré qu'Agamree est efficace pour améliorer leur capacité à se déplacer. Étant donné que le vamorolone agit de la même manière que les corticostéroïdes actuellement utilisés, l'Agence a conclu qu'il peut également être utilisé chez les patients plus âgés.

En termes de sécurité, Agamree est comparable aux corticostéroïdes classiques et ne provoque pas certains des effets indésirables que ceux-ci provoquent (tels que des effets sur les os et la croissance).

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace d'Agamree?

La société qui commercialise Agamree fournira aux patients une carte de mise en garde contenant des informations sur la nécessité d'un traitement quotidien et le risque de crise surrénalienne, un effet indésirable qui peut survenir chez les patients arrêtant brutalement le traitement par corticostéroïdes.

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace d'Agamree ont également été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation d'Agamree sont surveillées en permanence. Les effets indésirables suspectés rapportés sous Agamree sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

Autres informations relatives à Agamree:

De plus amples informations sur Agamree sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/agamree