



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/549773/2023  
EMA/H/C/005679

## Agamree (*vamorolon*)

Az Agamree-re vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

### **Milyen típusú gyógyszer az Agamree és milyen betegségek esetén alkalmazható?**

Az Agamree a Duchenne-féle izomsorvadás kezelésére szolgáló gyógyszer 4. életévüket betöltött betegeknek. A Duchenne-féle izomsorvadás egy genetikai rendellenesség, amely fokozatosan gyengeséget és az izomfunkció elvesztését okozza.

Mivel a Duchenne-féle izomsorvadás „ritkának” minősül, ezért az Agamree-t 2014. augusztus 22-én „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről az EMA [honlapján](#) található.

Az Agamree hatóanyaga a vamorolon.

### **Hogyan kell alkalmazni az Agamree-t?**

A gyógyszer csak receptre kapható. A kezelést a Duchenne-féle izomsorvadás kezelésében tapasztalattal rendelkező szakorvosnak kell megkezdenie.

A gyógyszer szuszpenzió formájában kapható, amelyet szájon át, naponta egyszer kell bevenni. Az orvos az adagot a beteg testtömege alapján írja elő.

Az Agamree alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

### **Hogyan fejti ki hatását az Agamree?**

Az Agamree hatóanyaga, a vamorolon egy módosított kortikoszteroid gyógyszer, amely azáltal csökkenti a gyulladást, hogy gátolja bizonyos, citokineknek nevezett gyulladáskeltő anyagok termelődését. A gyógyszer hatásmechanizmusa a Duchenne-féle izomsorvadásban szenvedő betegeknek nem teljesen ismert.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## **Milyen előnyei voltak az Agamree alkalmazásának a vizsgálatok során?**

Egy fő vizsgálat azt mutatta, hogy az Agamree a placebónál (hatóanyag nélküli kezelés) hatékonyabb volt a Duchenne-féle izomsorvadás kezelésében 4 és 7 év közötti, járóképes betegeknél. A 121 beteg bevonásával végzett vizsgálatban a TTSTAND-sebességet (felállási sebességét) vizsgálták, amely a hanyattfekvésből történő felállás sebességét jelzi.

24 hetes kezelést követően az átlagos TTSTAND-sebesség másodpercenként 0,19-ről 0,24 felállásra nőtt az Agamree-t alkalmazó betegeknél, míg a placebo esetében ez az érték enyhén, másodpercenként 0,20-ról 0,19-re csökkent. Ez a hatás a 48. hétig fennmaradt.

## **Milyen kockázatokkal jár az Agamree alkalmazása?**

Az Agamree alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Az Agamree leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a cushingoid vonások (kortikoszteroid hosszú távú alkalmazása által okozott jellemzők, mint például zsírfelhalmozódás az arcon és véraláfutások), a hányás, a testtömegnövekedés és az ingerlékenység.

A gyógyszer nem alkalmazható súlyosan csökkent májfunkciójú betegeknél, illetve olyan betegeknél, akik a közelmúltban élő vakcinát (az organizmus legyengített formáját tartalmazó vakcina) kaptak.

## **Miért engedélyezték az Agamree forgalomba hozatalát az EU-ban?**

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy az Agamree alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

A 4 és 7 év közötti betegek bevonásával végzett fő vizsgálat azt mutatta, hogy az Agamree hatásos a betegek mozgásképességének javításában. Mivel a vamorolon ugyanúgy fejti ki hatását, mint a jelenleg alkalmazott kortikoszteroidok, az Ügynökség arra a következtetésre jutott, hogy a gyógyszer idősebb betegeknél is alkalmazható.

A biztonságosságot illetően az Agamree jól összehasonlítható a hagyományos kortikoszteroidokkal, és nem okozza a hagyományos kortikoszteroidok mellékhatásainak némelyikét (például a csontokra és a növekedésre gyakorolt hatásokat).

## **Milyen intézkedések vannak folyamatban az Agamree biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?**

Az Agamree-t forgalmazó vállalat egy figyelmeztető kártyát fog a betegek rendelkezésére bocsátani, amely tájékoztatást nyújt a napi kezelés szükségességéről és a mellékvese-krízis kockázatáról, amely egy olyan mellékhatás, amely a kortikoszteroid-kezelést hirtelen abbahagyó betegeknél jelentkezhet.

Az Agamree biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

Az Agamree alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. Az Agamree alkalmazásával összefüggésben jelentett feltételezett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

## **Az Agamree-vel kapcsolatos egyéb információ**

Az Agamree-vel kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található:  
[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/agamree](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/agamree)