



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMADOC-1829012207-51873
EMA/H/C/005679

Agamree (*vamorolone*)

Sintesi in linguaggio semplice di Agamree e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Agamree e per cosa si usa?

Agamree è un medicinale per il trattamento della distrofia muscolare di Duchenne in pazienti a partire dai 2 anni di età. La distrofia muscolare di Duchenne è una malattia genetica che gradualmente causa debolezza e perdita della funzione muscolare.

La distrofia muscolare di Duchenne è rara e Agamree è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 22 agosto 2014. Ulteriori informazioni sulla qualifica di medicinale orfano sono disponibili sul [sito web](#) dell'EMA.

Agamree contiene il principio attivo vomorolone.

Come si usa Agamree?

Il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica. Il trattamento deve essere avviato solo da un medico specialista esperto nella gestione della distrofia muscolare di Duchenne.

Agamree è disponibile sotto forma di sospensione da assumere per via orale una volta al giorno. Il medico prescriverà la dose in base al peso corporeo del paziente.

Per maggiori informazioni sull'uso di Agamree, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

Come agisce Agamree?

Il principio attivo di Agamree, vomorolone, è un medicinale corticosteroide modificato che riduce l'infiammazione bloccando la produzione di determinate sostanze infiammatorie denominate citochine. Il suo funzionamento nei pazienti affetti da distrofia muscolare di Duchenne non è del tutto noto.

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



Quali benefici di Agamree sono stati evidenziati negli studi?

Uno studio principale ha dimostrato che Agamree era più efficace del placebo (un trattamento fittizio) nel trattamento della distrofia muscolare di Duchenne nei pazienti di età compresa tra 4 e meno di 7 anni che erano in grado di camminare. Lo studio, che ha coinvolto 121 pazienti, ha esaminato la loro velocità TTSTAND (time to stand, velocità nell'alzarsi), che è la velocità alla quale possono alzarsi da una posizione distesa.

Dopo 24 settimane di trattamento, la velocità media TTSTAND è aumentata da 0,19 a 0,24 alzate al secondo nei pazienti trattati con Agamree, mentre è diminuita leggermente da 0,20 a 0,19 alzate al secondo nei pazienti che hanno ricevuto placebo. Tale effetto è stato mantenuto fino alla settimana 48.

Inoltre, uno studio condotto su 20 bambini di sesso maschile di età compresa tra 2 e meno di 4 anni, che non avevano precedentemente ricevuto corticosteroidi, ha dimostrato che Agamree ha un'azione simile a quella osservata nei bambini leggermente più grandi (di età compresa tra 4 e 6 anni). Lo studio ha inoltre evidenziato che Agamree migliorava le capacità motorie dei bambini, con miglioramenti maggiori osservati a dosi più elevate. Tuttavia, lo studio non ha confrontato Agamree con un altro trattamento né con placebo.

Gli studi effettuati con Agamree sono descritti più dettagliatamente nelle relazioni di valutazione del medicinale.

Quali sono gli effetti indesiderati e le limitazioni di Agamree?

Per l'elenco completo delle limitazioni e degli effetti indesiderati rilevati con Agamree, vedere il foglio illustrativo.

Gli effetti indesiderati più comuni di Agamree (che possono riguardare più di 1 persona su 10) comprendono caratteristiche Cushingoide (caratteristiche causate dall'uso a lungo termine di un corticosteroide, quali accumulo di grasso sul viso e lividura), vomito, peso aumentato e irritabilità.

Il medicinale non deve essere usato in pazienti con funzionalità epatica gravemente compromessa o ai quali è stato somministrato un vaccino vivo (un vaccino che utilizza una forma indebolita dell'organismo) nelle 6 settimane precedenti l'inizio del trattamento o durante il trattamento.

Perché Agamree è autorizzato nell'UE?

L'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Agamree sono superiori ai rischi e che il suo uso può essere autorizzato nell'UE.

I dati disponibili sostengono l'uso di Agamree in pazienti di età compresa tra 2 anni e meno di 7 anni per migliorarne la capacità di movimento. Dato che vamorolone agisce allo stesso modo dei corticosteroidi attualmente utilizzati, l'Agenzia ha concluso che può essere utilizzato anche nei pazienti più anziani.

In termini di sicurezza, Agamree è del tutto paragonabile ai corticosteroidi convenzionali e non causa alcuni degli effetti indesiderati (come gli effetti sulle ossa e sulla crescita) provocati dai corticosteroidi convenzionali.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Agamree?

La ditta che commercializza Agamree fornirà ai pazienti una scheda di allerta contenente informazioni sulla necessità di un trattamento quotidiano e sul rischio di crisi surrenalica, un effetto indesiderato che può verificarsi nei pazienti che interrompono improvvisamente il trattamento con corticosteroidi.

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Agamree sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate anche nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Agamree sono costantemente monitorati. I presunti effetti indesiderati riportati con Agamree sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Agamree

Agamree ha ricevuto un'autorizzazione all'immissione in commercio valida in tutta l'UE il 14 dicembre 2023.

Ulteriori informazioni su Agamree, compresi il foglio illustrativo e la relazione di valutazione, sono disponibili sul sito web dell'Agenzia: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/agamree

Per informazioni sulla disponibilità di questo medicinale nel proprio paese, contattare l'[autorità nazionale competente](#).

Ultimo aggiornamento della presente sintesi: 05-2026.