



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/549756/2023
EMA/H/C/005679

Agamree (*vamorolon*)

Een overzicht van Agamree en waarom het is geregistreerd in de EU

Wat is Agamree en wanneer wordt het voorgeschreven?

Agamree is een geneesmiddel voor de behandeling van spierdystrofie van Duchenne bij patiënten vanaf vier jaar oud. Spierdystrofie van Duchenne is een genetische aandoening die geleidelijk verzwakking en verlies van spierfunctie veroorzaakt.

Spierdystrofie van Duchenne is zeldzaam, en Agamree werd op 22 augustus 2014 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel is te vinden op de [website](#) van het Europees Geneesmiddelenbureau.

Agamree bevat de werkzame stof vomorolon.

Hoe wordt Agamree gebruikt?

Dit geneesmiddel is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar. De behandeling mag alleen worden gestart door een specialist met ervaring in de behandeling van spierdystrofie van Duchenne.

Het geneesmiddel is verkrijgbaar in de vorm van een suspensie die eenmaal daags via de mond moet worden ingenomen. De arts zal de dosis voorschrijven op basis van het lichaamsgewicht van de patiënt.

Raadpleeg de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Agamree.

Hoe werkt Agamree?

De werkzame stof in Agamree, vomorolon, is een gemodificeerd corticosteroïdegeneesmiddel dat ontstekingen vermindert door de productie van bepaalde ontstekingsstoffen, zogenaamde cytokinen, te remmen. De manier waarop het middel werkt bij patiënten met spierdystrofie van Duchenne is niet volledig bekend.

Welke voordelen bleek Agamree tijdens de studies te hebben?

Uit een hoofdstudie bleek dat Agamree werkzamer was dan placebo (een schijnbehandeling) bij de behandeling van spierdystrofie van Duchenne bij patiënten tussen vier en zeven jaar oud die konden

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



lopen. In de studie, waarbij 121 patiënten betrokken waren, werd gekeken naar hun TTSTAND-snelheid (tijd tot stand), de snelheid waarmee ze kunnen opstaan vanuit een lighouding.

Na 24 weken behandeling nam de gemiddelde TTSTAND-snelheid toe van 0,19 tot 0,24 keer opstaan per seconde bij patiënten die Agamree gebruikten, terwijl deze licht daalde van 0,20 tot 0,19 keer opstaan per seconde bij patiënten die placebo kregen. Dit effect hield aan tot week 48.

Welke risico's houdt het gebruik van Agamree in?

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van de bijwerkingen van en beperkende voorwaarden voor het gebruik van Agamree.

De meest voorkomende bijwerkingen van Agamree (die bij meer dan 1 op de 10 personen kunnen optreden) zijn Cushingachtige verschijnselen (die worden veroorzaakt door langdurig gebruik van een corticosteroïde, zoals ophoping van vet in het gezicht en bloeduitstorting), braken, gewichtstoename en prikkelbaarheid.

Het geneesmiddel mag niet worden gebruikt bij patiënten met een ernstig verminderde leverfunctie of die onlangs een levend vaccin hebben gekregen (een vaccin op basis van een verzwakte vorm van het organisme).

Waarom is Agamree geregistreerd in de EU?

Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft geconcludeerd dat de voordelen van Agamree groter zijn dan de risico's en dat dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU.

Uit de hoofdstudie onder patiënten tussen vier en zeven jaar oud bleek dat Agamree werkzaam is voor het verbeteren van hun bewegingsvermogen. Aangezien vamorolon op dezelfde manier werkt als momenteel gebruikte corticosteroïden, concludeerde het Geneesmiddelenbureau dat het ook bij oudere patiënten kan worden gebruikt.

Wat de veiligheid betreft, is Agamree goed vergelijkbaar met conventionele corticosteroïden, terwijl sommige bijwerkingen van conventionele corticosteroïden (zoals effecten op de botten en de groei) zich niet voordoen bij dit middel.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Agamree te waarborgen?

Het bedrijf dat Agamree in de handel brengt, zal patiënten een waarschuwingskaart verstrekken met informatie over de noodzaak van dagelijkse behandeling en over het risico op bijniercrisis, een bijwerking die kan optreden bij patiënten die abrupt stoppen met de behandeling met corticosteroïden.

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Agamree, zijn ook opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Agamree continu gevolgd. Vermoedelijke bijwerkingen waargenomen voor Agamree worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig worden maatregelen getroffen om patiënten te beschermen.

Overige informatie over Agamree

Meer informatie over Agamree is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/agamree