



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/549757/2023
EMA/H/C/005679

Agamree (*wamorolon*)

Przegląd wiedzy na temat leku Agamree i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Czym jest lek Agamree i w jakim celu się go stosuje

Lek Agamree jest lekiem stosowanym w leczeniu dystrofii mięśniowej Duchenne’a u pacjentów w wieku od 4 lat. Dystrofia mięśniowa Duchenne’a to choroba genetyczna, w której stopniowo postępuje osłabienie i utrata funkcji mięśni.

Ze względu na to, że dystrofię mięśniową Duchenne’a uznano za chorobę rzadko występującą, w dniu 22 sierpnia 2014 r. lek Agamree uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierocego można znaleźć na [stronie internetowej](#) EMA.

Substancją czynną zawartą w leku Agamree jest wamorolon.

Jak stosować lek Agamree

Lek wydawany na receptę. Leczenie powinien rozpoczynać wyłącznie lekarz specjalista mający doświadczenie w leczeniu dystrofii mięśniowej Duchenne’a.

Lek jest dostępny w postaci zawiesiny do podawania doustnego raz na dobę. Lekarz przepisze dawkę w zależności od masy ciała pacjenta.

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Agamree znajduje się w Ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

Jak działa lek Agamree

Substancja czynna leku Agamree, wamorolon, jest zmodyfikowanym kortykosteroidem – lekiem, który łagodzi stan zapalny poprzez blokowanie produkcji niektórych substancji zapalnych zwanych cytokinami. Sposób działania leku u pacjentów z dystrofią mięśniową Duchenne’a nie jest w pełni poznany.

Korzyści ze stosowania leku Agamree wykazane w badaniach

W badaniu głównym wykazano, że lek Agamree był skuteczniejszy od placebo (leczenia pozorowanego) w leczeniu dystrofii mięśniowej Duchenne’a u pacjentów w wieku od 4 do 7 lat, którzy byli w stanie

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



chodzić. W badaniu z udziałem 121 pacjentów oceniano prędkość TTSTAND (ang. *Time to Stand Test*, prędkość wstawania), będącą prędkością, z którą pacjenci mogą wstać z pozycji leżącej.

Po 24 tygodniach leczenia u pacjentów, którzy przyjmowali lek Agamree, średnia prędkość TTSTAND wzrosła z 0,19 do 0,24 wstawania na sekundę, natomiast u pacjentów przyjmujących placebo nieznacznie spadła – z 0,20 do 0,19 wstawania na sekundę. Efekt ten utrzymał się do 48. tygodnia.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Agamree

Pełny wykaz działań niepożądanych i ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Agamree znajduje się w Ulotce dla pacjenta.

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Agamree (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów) to: cechy cushingoidalne (cechy wyglądu spowodowane długotrwałym stosowaniem kortykosteroidu, takie jak otłuszczenie twarzy i zasinienie), wymioty, wzrost masy ciała i drażliwość.

Leku nie wolno stosować u pacjentów z ciężkimi zaburzeniami czynności wątroby ani u osób, które niedawno otrzymały szczepienie żywą szczepionką (szczepionkę zawierającą osłabione organizmy).

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Agamree w UE

Europejska Agencja Leków uznała, że korzyści płynące ze stosowania leku Agamree przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

W badaniu głównym z udziałem pacjentów w wieku od 4 do 7 lat wykazano, że lek Agamree skutecznie poprawia pacjentów zdolność do poruszania się. Biorąc pod uwagę, że wamorolon działa w taki sam sposób jak obecnie stosowane kortykosteroidy, Agencja stwierdziła, że może on być stosowany również u starszych pacjentów.

Pod względem bezpieczeństwa lek Agamree jest porównywalny z konwencjonalnymi kortykosteroidami i nie powoduje niektórych działań niepożądanych wywoływanych przez konwencjonalne kortykosteroidy (takich jak wpływ na kości i wzrost).

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Agamree

Firma, która wprowadza lek Agamree do obrotu, dostarczy pacjentom kartę ostrzeżeń zawierającą informacje o konieczności codziennego leczenia i ryzyku wystąpienia przełomu nadnerczowego – działania niepożądanego, mogącego wystąpić u pacjentów, którzy nagle odstawili leczenie kortykosteroidami.

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Agamree w Charakterystyce Produktu Leczniczego i w Ulotce dla pacjenta zawarto również zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Agamree są stale monitorowane. Podejrzewane działania niepożądane leku Agamree są starannie oceniane i podejmowane są wszelkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące produktu Agamree

Dalsze informacje dotyczące leku Agamree znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/agamree