



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Agamree (*vamorolonă*)

Prezentare generală în limbaj simplu a Agamree și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Agamree și pentru ce se utilizează?

Agamree este un medicament pentru tratarea distrofiei musculare Duchenne la pacienți cu vârstă peste 2 ani. Distrofia musculară Duchenne este o boală genetică care duce treptat la slăbiciune și la pierderea funcției musculare.

Distrofia musculară Duchenne este rară, iar Agamree a fost desemnat „medicament orfan” (medicament utilizat în boli rare) la 22 august 2014. Mai multe informații despre medicamentele desemnate orfane se pot găsi pe [site-ul](#) EMA.

Agamree conține substanța activă vamorolonă.

Cum se utilizează Agamree?

Medicamentul se poate obține numai pe bază de prescripție medicală. Tratamentul trebuie inițiat numai de un medic specialist cu experiență în gestionarea terapeutică a distrofiei musculare Duchenne.

Agamree este disponibil sub formă de suspensie cu administrare orală o dată pe zi. Medicul va prescrie doza în funcție de greutatea pacientului.

Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Agamree, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

Cum acționează Agamree?

Substanța activă din Agamree, vamorolona, este un medicament corticosteroid modificat care reduce inflamația blocând producția anumitor substanțe inflamatorii numite citokine. Modul în care acționează la pacienții cu distrofie musculară Duchenne nu este pe deplin înțeles.

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



Ce beneficii a prezentat Agamree pe parcursul studiilor?

Un studiu principal a arătat că Agamree a fost mai eficace decât placebo (un preparat inactiv) în tratamentul distrofiei musculare Duchenne la pacienți cu vârsta între 4 și 7 ani care puteau merge. Studiul, care a cuprins 121 de pacienți, a analizat viteza TTSTAND (testul time to stand), care este viteza cu care aceștia se pot ridica din poziția culcat.

După 24 de săptămâni de tratament, viteza medie la ridicare a crescut de la 0,19 la 0,24 ridicări pe secundă la pacienții care au luat Agamree, însă a scăzut puțin, de la 0,20 la 0,19 ridicări pe secundă, la cei care au primit placebo. Acest efect s-a menținut până în săptămâna 48.

În plus, un studiu efectuat la 20 de băieți cu vârsta între 2 și 4 ani, care nu primiseră corticosteroizi, a arătat că Agamree acționează asemănător cu modul în care acționează la copiii puțin mai mari (cu vârsta între 4 și 6 ani). Studiul a mai arătat că Agamree a îmbunătățit abilitățile de mișcare ale copiilor, observându-se îmbunătățiri mai mari la doze mai mari. Studiul nu a comparat însă Agamree cu alt tratament sau cu placebo.

Studiile efectuate cu Agamree sunt descrise mai detaliat în rapoartele de evaluare a medicamentului.

Care sunt reacțiile adverse și restricțiile asociate cu Agamree?

Pentru lista completă a reacțiilor adverse și a restricțiilor asociate cu Agamree, citiți prospectul.

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Agamree (care pot afecta mai mult de 1 persoană din 10) sunt caracteristici cushingoide (caracteristici cauzate de utilizarea pe termen lung a unui corticosteroid, de exemplu acumularea de grăsimi pe față și vânatăi), vărsături, creștere în greutate și iritabilitate.

Medicamentul este contraindicat la pacienții cu insuficiență hepatică severă sau care sunt vaccinați cu un vaccin cu virus viu (vaccin care utilizează o formă slăbită a organismului) în cele 6 săptămâni înainte de începerea tratamentului sau în timpul tratamentului.

De ce a fost autorizat Agamree în UE?

Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Agamree sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

Datele disponibile susțin utilizarea Agamree la pacienți cu vârsta cuprinsă între 2 și sub 7 ani pentru îmbunătățirea capacității lor de mișcare. Deoarece modul de acțiune al vamorolonei este similar cu cel al corticosteroizilor utilizați în prezent, agenția a concluzionat că poate fi utilizat și la pacienții mai în vârstă.

În ceea ce privește siguranța, Agamree se compară bine cu corticosteroizii convenționali și nu cauzează unele reacții adverse pe care le cauzează corticosteroizii convenționali (de exemplu reacțiile asupra oaselor și creșterii).

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Agamree?

Compania care comercializează Agamree va furniza pacienților un card de avertizare cu informații privind nevoia de a administra tratamentul zilnic și riscul de criză suprarenală, o reacție adversă care poate apărea la pacienții care opresc brusc tratamentul cu corticosteroizi.

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse, de asemenea, recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Agamree, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Agamree sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse suspectate raportate pentru Agamree sunt evaluate cu atenție și sunt luate toate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Agamree

Agamree a primit autorizație de punere pe piață, valabilă pe întreg teritoriul UE, la 14 decembrie 2023.

Mai multe informații despre Agamree, inclusiv prospectul și raportul de evaluare, se pot găsi pe site-ul agenției: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/agamree

Pentru informații despre disponibilitatea acestui medicament în țara dumneavoastră, contactați [autoritatea națională competentă](#).

Această prezentare generală a fost actualizată ultima dată în 05-2026.