



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/549760/2023
EMA/H/C/005679

Agamree (*vamorolón*)

Prehľad o lieku Agamree a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Agamree a na čo sa používa?

Liek Agamree sa používa na liečbu Duchenneovej svalovej dystrofie u pacientov vo veku od 4 rokov. Duchenneova svalová dystrofia je genetické ochorenie, ktoré postupne spôsobuje slabosť a stratu svalovej funkcie.

Duchenneova svalová dystrofia je zriedkavé ochorenie, a preto bol liek Agamree 22. augusta 2014 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia. Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia sa nachádzajú na [webovej stránke](#) agentúry EMA.

Liek Agamree obsahuje liečivo vamorolón.

Ako sa liek Agamree používa?

Výdaj lieku je viazaný na lekársky predpis. Liečbu má začať len špecializovaný lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou Duchenneovej svalovej dystrofie.

Liek je k dispozícii vo forme suspenzie, ktorá sa užíva ústami jedenkrát denne. Lekár predpíše dávku na základe telesnej hmotnosti pacienta.

Viac informácií o používaní lieku Agamree si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárnika.

Akým spôsobom liek Agamree účinkuje?

Liečivo lieku Agamree, vamorolón, je modifikovaný kortikosteroidný liek a zmierňuje zápal tak, že zablokuje tvorbu určitých zápalových látok nazývaných cytokíny. Spôsob, akým liek účinkuje u pacientov s Duchenneovou svalovou dystrofiou, nie je úplne známy.

Aké prínosy lieku Agamree boli preukázané v štúdiách?

V hlavnej štúdii sa preukázalo, že liek Agamree je účinnejší ako placebo (zdanlivý liek) pri liečbe Duchenneovej svalovej dystrofie u pacientov vo veku od 4 do 7 rokov, ktorí boli schopní chodiť. V štúdii, na ktorej sa zúčastnilo 121 pacientov, sa skúmala ich rýchlosť v teste TTSTAND (time to stand), čo je rýchlosť, akou sa dokážu postaviť z polohy ležmo.

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



Po 24 týždňoch liečby sa priemerná rýchlosť v teste TTSTAND zvýšila z 0,19 na 0,24 za sekundu u pacientov, ktorí užívali liek Agamree, zatiaľ čo u pacientov s placebom mierne poklesla z 0,20 na 0,19 za sekundu. Tento účinok sa udržal až do 48. týždňa.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Agamree?

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Agamree a zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Agamree (ktoré môžu postihnúť viac ako 1 osobu z 10) sú cushingoidné črty (črty spôsobené dlhodobým používaním kortikosteroidu, napríklad hromadenie tuku na tvári a modriny), vracanie, zvýšená hmotnosť a podráždenosť.

Liek sa nesmie používať u pacientov so závažnou poruchou funkcie pečene ani u pacientov, ktorí nedávno dostali živú očkovaciu látku (očkovaciu látku, ktorá používa oslabenú formu organizmu).

Prečo bol liek Agamree povolený v EÚ?

Európska agentúra pre lieky rozhodla, že prínosy lieku Agamree sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a že liek môže byť povolený na používanie v EÚ.

V hlavnej štúdii u pacientov vo veku od 4 do 7 rokov sa preukázalo, že liek Agamree je účinný pri zlepšovaní schopnosti pohybu. Vzhľadom na to, že vamorolón účinkuje rovnakým spôsobom ako kortikosteroidy, ktoré sa v súčasnosti používajú, agentúra dospela k záveru, že sa môže používať aj u starších pacientov.

Pokiaľ ide o bezpečnosť, liek Agamree je porovnateľný s konvenčnými kortikosteroidmi a nespôsobuje niektoré vedľajšie účinky, ktoré konvenčné kortikosteroidy spôsobujú (napríklad účinky na kosti a rast).

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Agamree?

Spoločnosť, ktorá liek Agamree uvádza na trh, poskytne pacientom bezpečnostnú kartu s informáciami o potrebe každodennej liečby a riziku adrenálnej krízy, čo je vedľajší účinok, ktorý sa môže vyskytnúť u pacientov, ktorí náhle zastavujú liečbu kortikosteroidmi.

Na bezpečné a účinné používanie lieku Agamree boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté aj odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Agamree sa neustále kontrolujú. Podozrenia na vedľajšie účinky hlásené pri lieku Agamree sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Agamree

Ďalšie informácie o lieku liek Agamree sa nachádza na webovej stránke agentúry:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/agamree