



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/549761/2023
EMA/H/C/005679

Agamree (*vamorolon*)

Pregled zdravila Agamree in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Agamree in za kaj se uporablja?

Agamree je zdravilo za zdravljenje Duchennove mišične distrofije pri bolnikih, starejših od štirih let. Duchennova mišična distrofija je genetska bolezen, ki postopoma povzroči šibkost in prenehanje delovanja mišic.

Duchennova mišična distrofija je redka bolezen, zato je bilo zdravilo Agamree 22. avgusta 2014 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni). Nadaljnje informacije o zdravilih sirotah so na voljo na [spletni strani](#) agencije EMA.

Zdravilo Agamree vsebuje učinkovino vamorolon.

Kako se zdravilo Agamree uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila je le na recept. Zdravljenje lahko uvede le zdravnik specialist, ki ima izkušnje z zdravljenjem Duchennove mišične distrofije.

Zdravilo je na voljo v obliki suspenzije, ki se jemlje peroralno enkrat na dan. Zdravnik bo predpisal odmerek na podlagi bolnikove telesne mase.

Za več informacij glede uporabe zdravila Agamree glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Kako zdravilo Agamree deluje?

Učinkovina v zdravilu Agamree, vamorolon, je modificirano kortikosteroidno zdravilo in zmanjšuje vnetje z zaviranjem proizvodnje nekaterih vnetnih snovi, imenovanih citokini. Način delovanja pri bolnikih z Duchennovo mišično distrofijo ni v celoti znan.

Kakšne koristi zdravila Agamree so se pokazale v študijah?

Glavna študija je pokazala, da je zdravilo Agamree učinkovitejše od placeba (zdravila brez učinkovine) pri zdravljenju Duchennove mišične distrofije pri bolnikih, starih od štiri do sedem let, ki so lahko hodili. V študiji, v katero je bilo vključenih 121 bolnikov, so proučevali hitrost dviga iz ležečega v pokončni položaj s preskusom TTSTAND (time to stand).

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 tednih zdravljenja se je povprečna hitrost TTSTAND pri bolnikih, ki so jemali zdravilo Agamree, povečala z 0,19 na 0,24 dvigov na sekundo, medtem ko se je pri bolnikih, ki so jemali placebo, nekoliko zmanjšala z 0,20 na 0,19 dvigov na sekundo. Ta učinek se je ohranil do 48. tedna.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Agamree?

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Agamree glejte navodilo za uporabo.

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Agamree (ki se lahko pojavijo pri več kot 1 od 10 bolnikov) vključujejo cushingoidne značilnosti (značilnosti, ki jih povzroči dolgotrajna uporaba kortikosteroidov, kot so nabiranje maščob na obrazu in podplutbe), bruhanje, povečanje telesne mase in razdražljivost.

Zdravilo se ne sme uporabljati pri bolnikih, ki imajo hudo okvaro delovanja jeter ali so pred kratkim prejeli živo cepivo (cepivo, ki vsebuje oslABLJENO obliko organizma).

Zakaj je bilo zdravilo Agamree odobreno v EU?

Evropska agencija za zdravila je zaključila, da so koristi zdravila Agamree večje od z njim povezanih tveganj in da se lahko odobri za uporabo v EU.

Glavna študija pri bolnikih, starih od štiri do sedem let, je pokazala, da je zdravilo Agamree učinkovito pri izboljšanju sposobnosti gibanja. Ker vamorolon deluje enako kot trenutno uporabljeni kortikosteroidi, je agencija sklenila, da se lahko uporablja tudi pri starejših bolnikih.

Z vidika varnosti je zdravilo Agamree primerljivo z običajnimi kortikosteroidi, a ne povzroča nekaterih neželenih učinkov, ki jih povzročajo ti običajni kortikosteroidi (kot so učinki na kosti in rast).

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Agamree?

Podjetje, ki trži zdravilo Agamree, bo bolnikom priskrbelo opozorilno kartico s podatki o potrebi po vaskodnevem jemanju zdravila in tveganju za adrenalno krizo, tj. neželenem učinku, ki se lahko pojavi pri bolnikih, ki nenadoma prekinejo zdravljenje s kortikosteroidi.

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Agamree upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni tudi v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Agamree stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Agamree, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Agamree

Nadaljnje informacije za zdravilo Agamree so na voljo na spletni strani agencije:

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