



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/549762/2023
EMA/H/C/005679

Agamree (*vamorolon*)

Sammanfattning av Agamree och varför det är godkänt inom EU

Vad är Agamree och vad används det för?

Agamree är ett läkemedel som används för att behandla Duchennes muskeldystrofi hos patienter från 4 års ålder. Duchennes muskeldystrofi är en genetisk sjukdom som leder till en gradvis ökande svaghet och förlorad muskelfunktion.

Duchennes muskeldystrofi är sällsynt och Agamree klassificerades som sär läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 22 augusti 2014. Mer information om klassificeringen som sär läkemedel finns på EMA:s [webbplats](#).

Agamree innehåller den aktiva substansen vamorolon.

Hur används Agamree?

Läkemedlet är receptbelagt. Behandlingen ska endast sättas in av specialistläkare med erfarenhet av att behandla Duchennes muskeldystrofi.

Läkemedlet finns som en suspension som ska tas genom munnen en gång om dagen. Läkaren beräknar dosen utifrån patientens kroppsvikt.

För mer information om hur du använder Agamree, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

Hur verkar Agamree?

Den aktiva substansen i Agamree, vamorolon, är ett modifierat kortikosteroidläkemedel som minskar inflammationen genom att blockera produktionen av cytokiner, en typ av substanser som medverkar i inflammationsprocesser. Det är inte helt klarlagt hur det verkar hos patienter med Duchennes muskeldystrofi.

Vilka fördelar med Agamree har visats i studierna?

En huvudstudie visade att Agamree är effektivare än placebo (overksam behandling) när det gäller att behandla Duchennes muskeldystrofi hos patienter i åldern 4–7 år som var kapabla att gå. I studien,

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



som omfattade 121 patienter, mättes hur lång tid det tog för dem att resa sig upp från liggande ställning till stående ställning (TTSTAND).

Efter 24 veckors behandling ökade den genomsnittliga TTSTAND-hastigheten från 0,19 till 0,24 uppresningar per sekund hos patienter som tog Agamree, medan hastigheten minskade något – från 0,20 till 0,19 uppresningar per sekund – hos dem som fick placebo. Denna effekt höll i sig fram till vecka 48.

Vilka är riskerna med Agamree?

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Agamree finns i bipacksedeln.

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Agamree (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare) är cushingoida drag (rundad och uppsvälld ansiktsform som orsakas av långvarig användning av en kortikosteroid), kräkningar, viktökning och irritabilitet.

Läkemedlet får inte ges till patienter som har allvarligt nedsatt leverfunktion eller som nyligen har fått ett levande vaccin (som framställts med levande, försvagade mikroorganismer).

Varför är Agamree godkänt i EU?

Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann att fördelarna med Agamree är större än riskerna och att Agamree kan godkännas för försäljning i EU.

Huvudstudien på patienter i åldern 4–7 år visade att Agamree är effektivt när det gäller att förbättra deras rörelseförmåga. Eftersom vamorolon verkar på samma sätt som andra kortikosteroider drog EMA slutsatsen att läkemedlet även kan ges till äldre patienter.

Vad gäller säkerheten är Agamree jämförbart med konventionella kortikosteroider men har fördelen att det inte ger upphov till vissa av de biverkningar som konventionella kortikosteroider orsakar (t.ex. skelett- och tillväxtrelaterade effekter).

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Agamree?

Företaget som marknadsför Agamree kommer att förse patienter med ett varningskort med information om behovet av daglig behandling och risken för binjurebarkssvikt, en biverkning som kan uppstå hos patienter som avbryter kortikosteroidbehandling abrupt.

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Agamree har också tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Agamree kontinuerligt. Misstänkta biverkningar som har rapporterats för Agamree utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

Mer information om Agamree

Mer information om Agamree finns på EMA:s webbplats:

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