



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/549768/2023
EMA/H/C/005679

Agamree (*vamorolona*)

Información general sobre Agamree y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

¿Qué es Agamree y para qué se utiliza?

Agamree es un medicamento que se utiliza para tratar la distrofia muscular de Duchenne en pacientes a partir de 4 años de edad. La distrofia muscular de Duchenne es una enfermedad genética que causa gradualmente debilidad y pérdida de la función muscular.

La distrofia muscular de Duchenne es una enfermedad rara, y Agamree fue designado «medicamento huérfano» (un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 22 de agosto de 2014. Puede encontrar más información sobre la designación de medicamento huérfano en la [página web](#) de la EMA.

Agamree contiene el principio activo vamorolona.

¿Cómo se usa Agamree?

Este medicamento solo se podrá dispensar con receta médica. El tratamiento solo debe iniciarlo un médico especialista con experiencia en el tratamiento de la distrofia muscular de Duchenne.

El medicamento se presenta en forma de suspensión que debe tomarse por vía oral una vez al día. El médico prescribirá la dosis en función del peso corporal del paciente.

Si desea más información sobre el uso de Agamree, lea el prospecto o consulte con su médico o farmacéutico.

¿Cómo actúa Agamree?

El principio activo de Agamree, la vamorolona, es un corticosteroide modificado y reduce la inflamación al bloquear la producción de ciertas sustancias inflamatorias llamadas citocinas. No se conoce bien la forma en que actúa en los pacientes con distrofia muscular de Duchenne.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Agamree en los estudios realizados?

En un estudio principal se demostró que Agamree era más eficaz que el placebo (un tratamiento ficticio) en el tratamiento de la distrofia muscular de Duchenne en pacientes de entre 4 y 7 años de edad que podían caminar. En el estudio, en el que participaron 121 pacientes, se examinó la velocidad

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



de TTSTAND (tiempo en ponerse de pie), que es la velocidad a la que una persona se pone de pie desde una posición tumbada.

Después de 24 semanas de tratamiento, la velocidad media de TTSTAND aumentó de 0,19 a 0,24 aumentos por segundo en los pacientes que tomaron Agamree, mientras que disminuyó ligeramente de 0,20 a 0,19 aumentos por segundo en los que recibieron placebo. Este efecto se mantuvo hasta la semana 48.

¿Cuáles son los riesgos asociados a Agamree?

La lista completa de efectos adversos y restricciones de Agamree se puede consultar en el prospecto.

Los efectos adversos más frecuentes de Agamree (pueden afectar a más de 1 de cada 10 pacientes) son los síntomas del síndrome de Cushing (causados por el uso a largo plazo de un corticosteroide, como la acumulación de grasa en la cara y los hematomas), los vómitos, el aumento del peso y la irritabilidad.

El medicamento no debe administrarse a pacientes con insuficiencia hepática grave o que hayan recibido recientemente una vacuna viva (una vacuna que utiliza una forma debilitada del organismo).

¿Por qué se ha autorizado Agamree en la UE?

La Agencia Europea de Medicamentos decidió que los beneficios de Agamree son mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE.

El estudio principal realizado en pacientes de entre 4 y 7 años demostró que Agamree es eficaz a la hora de mejorar su capacidad de moverse. Dado que la vamorolona funciona de la misma manera que los corticosteroides utilizados actualmente, la Agencia llegó a la conclusión de que también puede utilizarse en pacientes de más edad.

En términos de seguridad, Agamree presenta buenos resultados en la comparación con los corticosteroides convencionales y no causa algunos de los efectos adversos que provocan estos (como los efectos sobre los huesos y el crecimiento).

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Agamree?

La compañía que comercializa Agamree proporcionará a los pacientes una tarjeta de alerta con información sobre la necesidad de tratamiento diario y el riesgo de insuficiencia suprarrenal aguda, un efecto adverso que puede producirse en pacientes que interrumpen bruscamente el tratamiento con corticosteroides.

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Agamree se han incluido también en la ficha técnica o resumen de las características del producto y el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Agamree se controlan de forma continua. Los supuestos efectos adversos notificados de Agamree se evalúan cuidadosamente, y se adoptan las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

Otra información sobre Agamree

Puede encontrar más información sobre Agamree en el sitio web de la Agencia:

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