

Vamorolone bei Duchenne-Muskeldystrophie (DMD)

Erstellt von Michela Guglieri, John Walton Muscular Dystrophy Research Centre, Newcastle University und Newcastle upon Tyne Hospitals Trust, fachliche Prüfung durch Mitglieder der Arbeitsgruppen „Kortikosteroide“ sowie „Knochen & Endokrinologie“ von DMD Care UK (www.dmdcareuk.org)

Stand: 29 Januar 2025

Vamorolone ist ein synthetisches Kortikosteroid zur Behandlung der Duchenne-Muskeldystrophie und potenziell anderer, inflammatorischer Erkrankungen.

Dies ist eine Zusammenfassung der aktuellen Datenlage zu Vamorolone bei DMD, basierend auf veröffentlichten Daten. Eine systematische Übersicht der aktuellen Erkenntnisse zur Wirksamkeit und Sicherheit bei DMD wurde kürzlich veröffentlicht¹.

Indikation

Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) bei Patienten ab einem Alter von 4 Jahren (gemäß NICE-Empfehlung vom 10. Dezember 2024). **Referenz:** [Vamorolone zur Behandlung der Duchenne-Muskeldystrophie ab 4 Jahren | NICE-Leitlinie \(TA1031\)](#)

Wirkmechanismus

Vamorolone ist ein neuartiges Kortikosteroid, das häufig als „dissoziatives Steroid“ bezeichnet wird. Ziel dieses Wirkprinzips ist es, die therapeutische Wirksamkeit konventioneller Glukokortikoide (wie Prednison oder Deflazacort) beizubehalten, während das Risiko für typische steroidassoziierte Nebenwirkungen minimiert wird².

Die entzündungshemmende Wirkung von Vamorolone entspricht der von Prednison und Deflazacort. Sie basiert auf der Transrepressions-Aktivität, bei welcher der spezifische Entzündungsweg über den Transkriptionsfaktor NF-κB gehemmt wird.

Im Gegensatz zu klassischen Glukokortikoiden weist Vamorolone jedoch eine geringere Affinität zur Bindung an das Glukokortikoid-Response-Element (GRE) der DNA auf. Die Bindung an diese Stellen wird als ursächlich für viele der unerwünschten Arzneimittelwirkungen (UAW) von Steroiden angesehen.

Darüber hinaus fungiert Vamorolone – anders als herkömmliche Kortikosteroide – als Antagonist am Mineralokortikoidrezeptor (ähnlich wie Spironolacton). Dies könnte potenziell kardioprotektive Vorteile bieten, die derzeit noch Gegenstand der klinischen Forschung sind.

Aktuelle Erkenntnisse zu Vamorolone

Der derzeitige Kenntnisstand zu Vamorolone bei DMD basiert primär auf zwei abgeschlossenen Phase-II-Studien sowie zwei entsprechenden Verlängerungsstudien:

- > Phase-IIa-Studie (VBP15-002): Eine offene Dosis-Eskalations-Studie mit steigender Dosierung (Vamorolone 0,25, 0,75, 2,0 und 6,0 mg/kg/Tag) zur Untersuchung der Sicherheit und Verträglichkeit mit anschließender Überführung in die Phase-IIa-Erweiterungsstudie VBP15-003. Patientenkollektiv: 48 Jungen mit DMD im Alter von 4 bis unter 7 Jahren.

- > Studie VBP15-LTE war eine offene Langzeitstudie zur Untersuchung von Dosisescalation, Sicherheit und Wirksamkeit. Einbezogen wurden 46 Jungen, die zuvor die Phase-IIa-Studie sowie die erste offene Verlängerungsstudie abgeschlossen und die Behandlung über einen Zeitraum von bis zu 30 Monaten fortgeführt hatten.

- > Phase-IIb-Studie (VBP15-004 oder VISION-DMD) war eine randomisierte, doppelblinde, placebokontrollierte Studie zur Untersuchung der Sicherheit und Wirksamkeit von zwei Vamorolone-Dosierungen (2,0 mg/kg/Tag und 6,0 mg/kg/Tag) im Vergleich zu Prednison (0,75 mg/kg/Tag) und Placebo. Teilnehmer waren 121 Jungen im Alter von 4 bis unter 7 Jahren. Im Zeitraum 1 (Woche 0–24) erfolgte der Vergleich von Vamorolone vs. Prednison vs. Placebo; im Zeitraum 2 (Woche 24–48) behielten die Vamorolone-Gruppen ihre Dosierung bei. Die Patienten der Prednison- und Placebo-Gruppen durchliefen eine 4-wöchige Auswaschphase (Woche 24–28) und wurden anschließend erneut randomisiert auf eine Behandlung mit entweder 2,0 mg/kg oder 6,0 mg/kg Vamorolone bis Woche 48. Die Studie ermöglichte einen direkten Vergleich von Vamorolone mit Placebo und Prednison bis Woche 24, jedoch nicht für den Endpunkt in Woche 48.

Die Ergebnisse dieser Studien wurden in Fachzeitschriften veröffentlicht.³⁻⁷

Patienten, die an den oben genannten Studien teilnahmen, erhielten im Anschluss die Möglichkeit, Vamorolone im Rahmen von Härtefallprogrammen (Compassionate Use, z. B. im Vereinigten Königreich) oder anderen Programmen für den frühzeitigen Therapiezugang (Early Access) weiter zu beziehen.

Bislang liegen veröffentlichte Daten zu einer Behandlungsdauer von bis zu 30 Monaten vor, die sich primär auf gehfähige Kinder beziehen. Die langfristige Sicherheit und Wirksamkeit von Vamorolone im direkten Vergleich zu konventionellen Kortikosteroiden ist zum gegenwärtigen Zeitpunkt noch nicht abschließend geklärt.

Wirksamkeit von Vamorolone

Aktuelle Erkenntnisse zeigen, dass Vamorolone über einen Zeitraum von 6 Monaten*⁶ bis 30 Monaten**⁵ eine vergleichbare Wirksamkeit wie herkömmliche Kortikosteroide aufweist. Dabei erwies sich eine Dosierung von 6 mg/kg/Tag als effektiver: Während die 2-mg-Dosis nach 12 Monaten geringere Verbesserungen der motorischen Funktionen erzielte als tägliches Prednison, konnte mit der höheren Dosierung (6 mg) ein deutlich besseres Ergebnis erzielt werden⁷. Generell gilt: Ein frühzeitiger Behandlungsbeginn ist entscheidend für bessere klinische Resultate⁷.

Ein Wechsel von Prednison auf Vamorolone (6 mg/kg/Tag) nach sechsmonatiger Behandlung konnte die zuvor erzielten motorischen Fortschritte stabil halten. Daten zu einem Wechsel nach einer längeren Vorbehandlung mit Prednison oder Deflazacort stehen jedoch noch aus. Bisher fehlen zudem direkte Vergleichsstudien (Head-to-Head) zwischen Vamorolone und Deflazacort sowie Untersuchungen zu intermittierenden Behandlungsschemata oder zur langfristigen vergleichenden Wirksamkeit.⁷

* VISION-DMD: Vergleich 6 mg/kg Vamorolone vs. 0,75 mg/kg Prednison (u. a. Zeit zum Aufstehen, 6-Minuten-Gehtest, NSAA-Score)

** LTE-Studie: In der Langzeitbeobachtung (Long-Term Extension) wurde Vamorolone mit verschiedenen herkömmlichen Kortikosteroiden verglichen, wobei alle gängigen Arten, Dosierungen und Verabreichungsformen berücksichtigt wurden. Als Referenz für den Krankheitsverlauf ohne diese Therapie dienten die Daten zur natürlichen Krankheitsentwicklung aus der CINRG- und der UK North Star-Kohorte. Evaluierte Endpunkte: Die klinische Wirksamkeit wurde anhand folgender motorischer Funktionsparameter bewertet: Zeit zum Aufstehen aus der Rückenlage, 6-Minuten-Gehtest (6MWT), 10-Meter-Gehtest, Treppensteig-Test (4 Stufen), NSAA-Score

Sicherheit von Vamorolone

Eine detaillierte Zusammenfassung des Nebenwirkungsprofils von Vamorolone im Vergleich zu herkömmlichen Kortikosteroiden (basierend auf der aktuellen Datenlage) ist in Tabelle 3 dargestellt.

Besondere Vorteile: Insgesamt weist Vamorolone im Vergleich zu klassischen Kortikosteroiden ein günstigeres Profil bei zwei spezifischen Nebenwirkungen auf: dem Längenwachstum und der Knochengesundheit^{5,6,8}. Zudem gibt es Hinweise auf ein vorteilhafteres Profil in Bezug auf Verhaltensauffälligkeiten⁹.

Ähnliche Risiken: Hinsichtlich der Gewichtszunahme und der Nebennierensuppression zeigen sich bei Vamorolone jedoch ähnliche Nebenwirkungen wie bei herkömmlichen Präparaten¹⁰.

Therapiewechsel und Langzeitdaten: Ein Wechsel von Prednison zu Vamorolone nach einer sechsmonatigen Behandlungsphase führte zu beobachtbarem Aufholwachstum und einer geringeren Häufigkeit bestimmter unerwünschter Ereignisse, insbesondere bei Verhaltensproblemen und gastrointestinalen Symptomen.

Es ist jedoch zu beachten: Daten zur Langzeitsicherheit über eine Exposition von 30 Monaten hinaus stehen noch aus. Zur potenziellen Umkehrung von Nebenwirkungen bei einem Wechsel zu Vamorolone nach langjähriger Vorbehandlung mit Prednisolon oder Deflazacort liegen derzeit noch keine Informationen vor.

Tabelle 3:

Nebenwirkungen	Kommentare	Vergleich mit herkömmlichen Kortikosteroiden
Nebennierensuppression	Unter der Behandlung mit Vamorolone tritt bei Patienten eine dosisabhängige Nebennierensuppression auf. Klinisch muss daher bei allen mit Vamorolone behandelten Jungen – unabhängig von der gewählten Dosierung – von einer unterdrückten Nebensuppression ausgegangen werden. Risiko im Stressfall: In Situationen mit erheblicher körperlicher Belastung besteht das Risiko einer lebensbedrohlichen Nebennierenkrise. Dies gilt insbesondere bei: Akuten Erkrankungen (z. B. Infekte mit Fieber), medizinischen Notfällen, erheblichem physischem Stress (z. B. Operationen oder schwere Verletzungen). Vorsorgemaßnahmen: Für jeden Patienten muss zwingend ein Plan für Krankheitstage vorliegen. Dieser muss die bedarfsgerechte Verabreichung von oralem Hydrocortison regeln, um den erhöhten Stressbedarf des Körpers auszugleichen.	Das Risiko einer Nebenniereninsuffizienz ist ein bekannter Klasseneffekt und besteht grundsätzlich bei allen Arten von Kortikosteroiden sowie bei sämtlichen angewandten Therapieschemata.

<p>Gewichtszunahme</p>	<p>Eine Zunahme des Körpergewichts ist eine häufige Nebenwirkung, die bei allen Kortikosteroiden – einschließlich Vamorolone – auftritt. Dabei ist zu beachten, dass sowohl der Zeitpunkt des ersten Auftretens als auch der individuelle Schweregrad der Gewichtszunahme von Patient zu Patient erheblich variieren können.</p>	<p>Die Behandlung mit Vamorolone führt zu einer vergleichbaren Gewichtszunahme und einem ähnlichen Anstieg des Body-Mass-Index (BMI) wie die tägliche Gabe von Prednison.</p> <p>In Bezug auf Deflazacort ist die Datenlage derzeit noch unzureichend: Es ist bislang unklar, wie die Gewichtsentwicklung unter täglicher Vamorolone-Einnahme im direkten Vergleich zur täglichen Einnahme von Deflazacort zu bewerten ist.</p>
<p>Wachstumsstörungen und Kleinwuchs</p>	<p>Bei Patienten, die über einen Zeitraum von bis zu 30 Monaten mit Vamorolone behandelt wurden, konnte keine Abnahme der Körpergrößen-Perzentile beobachtet werden. Das bedeutet, dass die betroffenen Jungen ihr altersgemäßes Wachstumspotenzial unter dieser Therapie beibehalten haben.</p>	<p>Im Gegensatz zu klassischen Kortikosteroiden ist die Behandlung mit Vamorolone nicht mit Wachstumsstörungen assoziiert.</p> <p>Die negativen Auswirkungen herkömmlicher Steroide auf das Längenwachstum scheinen nach einer Umstellung auf Vamorolone reversibel zu sein – zumindest nach einer begrenzten Vorbehandlungszeit. Belegt wurde dies bei Jungen, die nach einer sechsmonatigen Prednison-Therapie auf Vamorolone umgestellt wurden: Hier zeigte sich eine deutliche Umkehrung der Wachstumskurven im Sinne eines klinisch relevanten Aufholwachstums.</p>

<p>Osteoporose und Fragilitätsfrakturen</p>	<p>Ein wesentlicher Unterschied zu herkömmlichen Kortikosteroiden besteht darin, dass Vamorolone die Knochenumsatzmarker (Resorptions- und Formationsmarker) nicht unterdrückt.</p> <p>Unter Vamorolone besteht weiterhin ein Risiko für Wirbelkörperfrakturen.</p>	<p>Vorläufige Daten (bis zu einer Behandlungsdauer von 30 Monaten) deuten darauf hin, dass Wirbelkörperfrakturen unter Vamorolone seltener auftreten als unter einer täglichen Therapie mit Prednison oder Deflazacort. Im Vergleich zu Patienten <u>ohne</u> Steroidtherapie oder mit intermittierender Prednison-Gabe bleibt das Risiko unter Vamorolone jedoch erhöht. Diese Ergebnisse basieren auf vorliegenden Daten, die zum aktuellen Zeitpunkt noch nicht das vollständige Peer-Review-Verfahren (Begutachtung durch Fachkollegen) durchlaufen haben⁸.</p>
<p>Neuropsychiatrische Auswirkungen</p>	<p>Wie alle Kortikosteroide kann auch Vamorolone neuropsychiatrische Nebenwirkungen auslösen oder bereits bestehende Beschwerden verstärken.</p> <p>Dazu gehören insbesondere: Stimmungsveränderungen (Angstzustände, Depressionen und erhöhte Reizbarkeit), Verhaltensauffälligkeiten (Wutanfälle und aggressives Verhalten), Schlafstörungen (insbesondere Schlaflosigkeit (Insomnie).</p>	<p>Vorläufige Daten deuten darauf hin, dass die Behandlung mit Vamorolone im Vergleich zu Prednisolon mit einer geringeren Häufigkeit von Verhaltensproblemen assoziiert sein könnte. Diese Ergebnisse wurden bereits vorgelegt, jedoch zum aktuellen Zeitpunkt noch nicht offiziell in Fachjournalen veröffentlicht.</p> <p>Ein direkter Vergleich zwischen Vamorolone und Deflazacort im Hinblick auf das Risiko für Verhaltens-auffälligkeiten liegt bislang nicht vor.</p>

Cushingoide Nebenwirkungen	Bei Patienten unter Vamorolone-Therapie wurden cushingode Symptome beobachtet, wobei die vorliegenden Berichte auf einen dosisabhängigen Zusammenhang hindeuten.	Keine Daten verfügbar
verzögerte Pubertät	Bislang liegen ausschließlich veröffentlichte Daten zu Jungen mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) vor, die bis zu einem Alter von 11 Jahren mit Vamorolone behandelt wurden.	Unbekannt
Gastrointestinale Symptome	Keine Daten verfügbar	Unbekannt
Katarakt	Keine Daten verfügbar	Unbekannt
Immunsuppression/erhöhtes Infektionsrisiko	Keine Daten verfügbar	Unbekannt
Hypertrichose	Keine Daten verfügbar	Unbekannt
Hypertonie	Keine Daten verfügbar	Unbekannt
Glukoseintoleranz	Keine Daten verfügbar	Unbekannt
Hautfragilität	Keine Daten verfügbar	Unbekannt
Akne und Hautinfektionen (z. B. Tinea, Verrucae)	Keine Daten verfügbar	Unbekannt

Aktuelle Verfügbarkeit und laufende Datenerhebung:

Early Access & Compassionate Use: In verschiedenen Ländern wurden Programme eingerichtet, um Patienten nach Abschluss klinischer Studien den weiteren Zugang zu Vamorolone zu ermöglichen. *Bisher liegen aus diesen Programmen jedoch keine veröffentlichten Daten vor:*

Compassionate Use (Großbritannien): Für Patienten nach Abschluss einer klinischen Studie.

Early-Access-Programme (Australien, USA, Israel): Ebenfalls für ehemalige Studienteilnehmer geöffnet.

Reguläre Verschreibungsfähigkeit: Nach der Zulassung durch die FDA (Oktober 2023) und die EMA (Dezember 2023) ist Vamorolone in den USA und Deutschland regulär verschreibungsfähig. *Auch hier stehen veröffentlichte Real-World-Daten noch aus.*

Erweiterte klinische Forschung – Studie VBP15-006 (USA): Diese offene Studie (n = 54) ist besonders relevant, da sie Patientengruppen untersucht, für die bislang kaum Daten vorlagen. Über einen Zeitraum von 12 Wochen wird die Sicherheit und Wirksamkeit in folgenden Gruppen geprüft (54 Teilnehmer): Kleinkinder: Steroid-naive Jungen (2 bis <4 Jahre) sowie Ältere Kinder & Jugendliche: Jungen im Alter von 7 bis <18 Jahren (sowohl steroid-naiv als auch nach Umstellung von anderen Glukokortikoiden).

Guardian-Studie (Großbritannien): Hierbei handelt es sich um eine offene Langzeitstudie mit Patienten, die bereits an vorherigen Vamorolone-Studien (VBP15-002/003/LTE/004) teilgenommen haben. Das Ziel ist die Evaluation der langfristigen Sicherheit und Wirksamkeit. Ein besonderer wissenschaftlicher Fokus liegt auf: Auftreten von Wirbelkörper- und Nicht-Wirbelkörperfrakturen, Entwicklung von Katarakten und der Verlauf der Pubertät, Erreichen von Meilensteinen (Erhalt der Gehfähigkeit vs. Übergang in die Nicht-Gehfähigkeit).

In den kommenden Monaten werden zusätzliche Belege zur kurzfristigen Sicherheit und Wirksamkeit (über 12 Monate) erwartet. Diese basieren auf einem direkten Datenvergleich der **VISION-DMD-Studie** mit der **FOR-DMD-Studie**. Dieser

Vergleich wird präzisere Erkenntnisse zu folgenden Schwerpunkten liefern: Klinische Ergebnismaße und anthropometrische Daten, Inzidenz von Wirbelkörperfrakturen, Häufigkeit und Schweregrad von Verhaltensauffälligkeiten.

Referenzen

1. Pascual-Morena C, Lucerón-Lucas-Torres M, Martínez-García I, Rodríguez-Gutiérrez E, Patiño-Cardona S, Sequí-Domínguez I. [Wirksamkeit und Sicherheit von Vamorolone bei Duchenne- Muskeldystrophie: Eine systematische Übersicht](#). Paediatr Drugs. 2024 Nov;26(6):695-707. doi: 10.1007/s40272-024-00655-5. Epub
2. Reeves EK, Hoffman EP, Nagaraju K, Damsker JM, McCall JM. [VBP15: preclinical characterization of a novel anti-inflammatory delta 9,11 steroid](#). Bioorg. Med. Chem. 2013;21:2241–2249. doi: 10.1016/j.bmc.2013.02.009.
3. Conklin LS, Damsker JM, Hoffman EP, Jusko WJ, Mavroudis PD, Schwartz BD, Mengle-Gaw LJ, Smith EC, Mah JK, Guglieri M, Nevo Y, Kuntz N, McDonald CM, Tulinius M, Ryan MM, Webster R, Castro D, Finkel RS, Smith AL, Morgenroth LP, Arrieta A, Shimony M, Jaros M, Shale P, McCall JM, Hathout Y, Nagaraju K, van den Anker J, Ward LM, Ahmet A, Cornish MR, Clemens PR. [Phase IIa trial in Duchenne muscular dystrophy shows vamorolone is a first-in-class dissociative steroidal anti-inflammatory drug](#). Pharmacol Res. 2018 Okt;136:140-150.
4. Smith EC, Conklin LS, Hoffman EP, Clemens PR, Mah JK, Finkel RS, Guglieri M, Tulinius M, Nevo Y, Ryan MM, Webster R, Castro D, Kuntz NL, Kerchner L, Morgenroth LP, Arrieta A, Shimony M, Jaros M, Shale P, Gordish-Dressman H, Hagerty L, Dang UJ, Damsker JM, Schwartz BD, Mengle-Gaw LJ, McDonald CM; CINRG VBP15 und DNHS-Investigators. [Efficacy and safety of vamorolone in Duchenne muscular dystrophy: An 18-month interim analysis of a non-randomized open-label extension study](#). PLoS Med. 21. September 2020; 17(9):e1003222.
5. Mah JK, Clemens PR, Guglieri M, Smith EC, Finkel RS, Tulinius M, Nevo Y, Ryan MM, Webster R, Castro D, Kuntz NL, McDonald CM, Damsker JM, Schwartz BD, Mengle-Gaw LJ, Jackowski S, Stimpson G, Ridout DA, Ayyar-Gupta V, Baranello G, Manzur AY, Muntoni F, Gordish-Dressman H, Leinonen M, Ward LM, Hoffman EP, Dang UJ; NorthStar UK Network und CINRG DNHS Investigators. [Efficacy and Safety of Vamorolone in Duchenne Muscular Dystrophy: A 30-Month Nonrandomized Controlled Open-Label Extension Trial](#). JAMA Netw Open. 4. Januar 2022; 5(1):e2144178.
6. Guglieri M, Clemens PR, Perlman SJ, Smith EC, Horrocks I, Finkel RS, Mah JK, Deconinck N, Goemans N, Haberlova J, Straub V, Mengle-Gaw LJ, Schwartz BD, Harper AD, Shieh PB, De Waele L, Castro D, Yang ML, Ryan MM, McDonald CM, Tulinius M, Webster R, McMillan HJ, Kuntz NL, Rao VK, Baranello G, Spinty S, Childs AM, Sbrocchi AM, Selby KA, Monduy M, Nevo Y, Vilchez-Padilla JJ, Nascimento-Osorio A, Niks EH, de Groot IJM, Katsalouli M, James MK, van den Anker J, Damsker JM, Ahmet A, Ward LM, Jaros M, Shale P, Dang UJ, Hoffman EP. [Efficacy and Safety of Vamorolone vs Placebo and Prednisone Among Boys With Duchenne Muscular Dystrophy: A Randomized Clinical Trial](#). JAMA Neurol. 1. Oktober 2022; 79(10):1005-1014.
7. Dang UJ, Damsker JM, Guglieri M, Clemens PR, Perlman SJ, Smith EC, Horrocks I, Finkel RS, Mah JK, Deconinck N, Goemans NM, Haberlová J, Straub V, Mengle-Gaw L, Schwartz BD, Harper A, Shieh PB, De Waele L, Castro D, Yang ML, Ryan MM, McDonald CM, Tulinius M, Webster R, Mcmillan HJ, Kuntz N, Rao VK, Baranello G, Spinty S, Childs AM, Sbrocchi AM, Selby KA, Monduy M, Nevo Y, Vilchez JJ, Nascimento-Osorio A, Niks EH, De Groot IJM, Katsalouli M, Van Den Anker JN, Ward LM, Leinonen M, D'Alessandro AL, Hoffman EP. [Efficacy and Safety of Vamorolone Over 48 Weeks in Boys With Duchenne Muscular Dystrophy: A Randomized Controlled Trial](#). Neurology. 12. März 2024; 102(5):e208112.
8. Phung K, Crabtree N, Connolly AM, Furlong P, Hoffman EP, Jackowski SA, Jayash SN, Johnson A, Koujok K, Munns CF, Niks E, Rauch F, Schrader R, Turner C, Vroom E, Weber DR, Wong BL, Guglieri M, Ward LM, Wong SC. [Moving Beyond the 2018 Minimum International Care Considerations for Osteoporosis Management in Duchenne Muscular Dystrophy \(DMD\): Meeting Report from the 3rd International Muscle-Bone Interactions Meeting 7th and 14th November 2022](#). J Neuromuscul Dis. 2024;11(1):233-252.
9. Henricson E, de Vera A, Leinonen M, Clemens PR, Guglieri M, Truba N, Hoffman EP, Childs AM. [Evaluation of behavioral problems in the VISION-DMD study of vamorolone vs prednisone in Duchenne muscular dystrophy. – Posterpräsentation](#), BPNA Conference 2025, Oxford.
10. Ahmet A, Tobin R, Dang UJ, Roman R, Guglieri M, Clemens PR, Hoffman EP, Ward LM. [Adrenal Suppression From Vamorolone and Prednisone in Duchenne Muscular Dystrophy: Results From the Phase 2b Clinical Trial](#). J Clin Endocrinol Metab. 4. August 2024: dgae521. doi: 10.1210/clinem/dgae521.



DMD Care UK ist eine gemeinschaftliche Initiative des John Walton Muscular Dystrophy Research Centre (Newcastle University) und der Organisation Duchenne UK. Die Initiative gehört zum britischen North Star Network und wird durch die finanzielle Unterstützung von Duchenne UK, dem Duchenne Research Fund sowie Joining Jack getragen.

