

Übersetzung basierend auf den Leitlinien aus dem Vereinigten Königreich,
unterstützt von Santhera Pharmaceuticals

Kortikosteroide bei Duchenne-Muskeldystrophie Behandlungsleitlinien von DMD Care UK

Stand: 31. März 2025

Anhang A: Wichtige Überlegungen zu Vamorolon

Vamorolon ist ein Kortikosteroid.

Bitte lesen Sie vor der Verschreibung von Vamorolon die Zusammenfassung der Merkmale des Präparats: <https://www.medicines.org.uk/emc/product/15946/smpc>

Vamorolon ist im Vereinigten Königreich für Menschen mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) ab 4 Jahren zugelassen.

Vamorolon wurde nur als tägliche Behandlung untersucht.

Vamorolon ist nur in flüssiger Form erhältlich.

Vamorolon hat eine ähnliche Wirkung auf die Muskelfunktion wie andere Kortikosteroide gezeigt.

Vamorolon hat nach einer bis zu 30-monatigen Behandlung ein besseres Nebenwirkungsprofil als andere Kortikosteroide in Bezug auf Wachstum und Knochengesundheit gezeigt.

Vamorolon hat ähnliche Nebenwirkungen in Bezug auf Gewichtszunahme und Nebennierensuppression gezeigt.

Vamorolon könnte ein milderes Nebenwirkungsprofil in Bezug auf Verhaltensprobleme haben.

Es liegen keine Daten zur längerfristigen Sicherheit und Wirksamkeit von Vamorolon bei DMD im Vergleich zu anderen Kortikosteroiden vor.

Die Auswirkungen einer Umstellung von einer Langzeittherapie mit Prednisolon oder Deflazacort auf Vamorolon auf die Nebenwirkungen sind nicht bekannt. Die möglichen Auswirkungen auf das Körpergewicht bei einer Umstellung von einer intermittierenden Therapie auf eine tägliche Einnahme von Vamorolon oder bei einer Umstellung von Deflazacort auf Vamorolon sind nicht bekannt, sollten jedoch mit den Familien besprochen werden.

Ähnlich wie andere Kortikosteroide sollte Vamorolon morgens auf vollen Magen eingenommen werden.

Die empfohlene Vamorolon-Dosis beträgt 6 mg/kg/Tag. Die empfohlene Tagesdosis von Vamorolon für Patienten mit mäßiger Leberfunktionsstörung (Child-Pugh-Klasse B*) beträgt 2 mg/kg/Tag (maximale Dosis von 80 mg für Personen mit einem Körpergewicht von 40 kg und mehr). Patienten mit schwerer Leberfunktionsstörung (Child-Pugh-Klasse C*) sollten nicht mit Vamorolon behandelt werden.

*<https://www.ncbi.nlm.nih.gov/books/NBK542308/>

Im Vereinigten Königreich beträgt die maximale Vamorolon-Dosis 240 mg/Tag (entspricht 6 ml). Allen Personen mit einem Körpergewicht > 40 kg können maximal 240 mg Vamorolon/Tag verschrieben werden.

Die Tagesdosis kann je nach individueller Verträglichkeit auf 4 mg/kg/Tag oder 2 mg/kg/Tag reduziert werden. Die Patienten sollten innerhalb des Dosierungsbereichs mit der höchstverträglichen Dosis behandelt werden.

Patienten, denen zuvor klassische Glukokortikoide verabreicht wurde, sollten auf 6 mg/kg/Tag Vamorolon umgestellt werden, um das Risiko einer Nebennierenkrise zu minimieren.

Alle Personen, die von Prednisolon oder Deflazacort auf Vamorolon umgestellt werden, sollten auf Anzeichen und Symptome einer Nebenniereninsuffizienz achten (befolgen Sie die Empfehlungen der Arbeitsgruppe Knochengesundheit und Endokrinologie bei DMD Care UK: <http://tinyurl.com/k6dz2a5v>).

Im Gegensatz zu anderen Kortikosteroiden ist Vamorolon ein Mineralokortikoidrezeptor-Antagonist (wie Spironolacton/Eplerenon). Daher sollte Vamorolon nicht zur Dosierung an Krankheitstagen verwendet werden. Halten Sie eine niedrige Schwelle bei der Überprüfung der Elektrolyte während einer akuten Erkrankung ein, insbesondere bei Personen, die bereits andere Mineralokortikoidrezeptor-Antagonisten einnehmen. Die potenziellen kardioprotektiven Vorteile von Vamorolon müssen noch untersucht werden.

Basierend auf dem bisherigen Kenntnisstand

könnte Vamorolon bevorzugt bei Patienten im frühen Kindesalter eingesetzt werden, die potenziell am meisten von dem besseren Sicherheitsprofil in Bezug auf Wachstum und Knochengesundheit profitieren könnten.

Vamorolon könnte auch bei Personen in Betracht gezogen werden, denen zuvor aufgrund familiärer Entscheidungen oder Bedenken hinsichtlich bestimmter Nebenwirkungen keine anderen Kortikosteroide verschrieben wurden. Allerdings müssen die Erwartungen angesichts des derzeitigen Mangels an Langzeitdaten zum Nebenwirkungsprofil von Vamorolon im Vergleich zu anderen Kortikosteroiden sorgfältig gemanagt werden.

Die Umstellung von Prednisolon oder Deflazacort auf Vamorolon bei älteren Kindern sollte von Fall zu Fall geprüft werden. Die Risiken und Vorteile einer Behandlung in dieser Altersgruppe müssen mit dem Patienten und seinen Betreuern besprochen werden, wobei die derzeitigen Unsicherheiten und die Tatsache, dass die Datenlage mit der Zeit besser werden wird, hervorzuheben sind.

Vamorolon wurde bei Erwachsenen mit DMD nicht untersucht, obwohl einige Erwachsene in Ländern, in denen das Präparat bereits zugelassen ist, möglicherweise bereits Vamorolon erhalten. Es liegen keine veröffentlichten Daten zur Wirkung von Vamorolon bei Erwachsenen oder zur Umstellung auf Vamorolon nach mehrjähriger Behandlung mit anderen Kortikosteroiden vor. Das Nutzen-Risiko-Verhältnis einer Umstellung auf Vamorolon sollte bei dieser Patientengruppe sorgfältig abgewogen werden.



DMD Care UK ist eine gemeinschaftliche Initiative des John Walton Muskeldystrophie-Forschungszentrums an der Universität Newcastle und der Organisation Duchenne UK. DMD Care UK gehört zum britischen North Star Network und wird finanziell getragen von Duchenne UK, dem Duchenne Research Fund sowie Joining Jack.