

Neues zur Standardtherapie der Duchenne Muskeldystrophie (DMD)

Santhera engagiert sich seit nunmehr fast 20 Jahren im Bereich der Duchenne Muskeldystrophie (DMD).

DMD ist eine seltene, X-chromosomal-vererbte Erkrankung, die fast ausschließlich Jungen betrifft. Aufgrund des Gendefekts fehlt den Betroffenen Dystrophin, was zu einer Muskelfibrose führt, die sich in fortschreitender Muskeldegeneration und -schwäche manifestiert. Die Erkrankung führt zum Verlust des Gehvermögens, der Notwendigkeit einer assistierten Beatmung und der Entwicklung einer Kardiomyopathie.

DMD geht über die Muskeln hinaus, die fortschreitende Verschlechterung der Knochengesundheit ist eine der vielen schwerwiegenden Folgen der DMD.

Die Knochenentwicklung hängt zum Teil von der Muskeltätigkeit ab, denn die Form und Dichte der Knochen wird durch die mechanische Kraft beeinflusst, die die Muskeln ausüben.¹

Dieser Zusammenhang wird bei der DMD gestört, bei Patienten kann es daher zu Osteopenie und Osteoporose kommen, die zu vermehrten Knochenbrüchen und Skelettdeformitäten führen.²

Frühes Eingreifen ist von entscheidender Bedeutung: Ein verzögerter Beginn therapeutischer Interventionen kann zu anhaltendem Verlust der Muskelkraft, erhöhter Knochenbrüchigkeit, dem Auftreten von Kontrakturen, eingeschränkter Mobilität und einer kürzeren Lebensdauer führen.^{1,3-4}

Kortikosteroide gehören zur Standardtherapie bei DMD, sind aber in der Langzeitanwendung mit einer Reihe von Nebenwirkungen, wie vermindertem Wachstum, Osteoporose und Gewichtszunahme verbunden.⁵ Vamorolon ist ein neu entwickeltes dissoziatives Kortikosteroid für DMD, das an denselben Rezeptor wie Kortikosteroide bindet, aber die Aktivität nachgeschaltet modifiziert.⁶



Besuchen Sie unser Symposium auf der GNP-Jahrestagung am Donnerstag, dem 16.11.23 um 12 Uhr, wo namhafte Referenten ein Update zum heutigen Stand und neuen Entwicklungen im Bereich der Langzeitbehandlung der DMD geben werden.

Referenzen:

1. Berendsen AD, Olsen BR. Bone development. *Bone*. 2015;80:14-18.
2. Morgenroth VH, Hache LP, Clemens PR. Insights into bone health in Duchenne muscular dystrophy. *Bonekey Rep*. 2012;1:9.
3. Bushby K, Finkel R, Birnkrant DJ, et al. Diagnosis and management of Duchenne muscular dystrophy, part 1: diagnosis, and pharmacological and psychosocial management. *Lancet Neurol*. 2010;9(1):77-93.
4. Guglieri M, Bushby K, McDermott MP, et al. Developing standardized corticosteroid treatment for Duchenne muscular dystrophy. *Contemp Clin Trials*. 2017;58:34-39.
5. Cowen L, et al. *BMC Neurol*. 2019;19:84;
6. Heier R, et al. *EMBO Mol Med*. 2013;5:1569-85.