

Vamorolon (Duchenne-Muskeldystrophie)

Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V

A horizontal bar composed of 18 squares of varying shades of blue and grey. The word 'DOSSIERBEWERTUNG' is written in white capital letters on a dark blue background that spans the first 14 squares of the bar.

DOSSIERBEWERTUNG

Projekt: G26-16

Version: 1.0

Stand: 11.09.2026

IQWiG-Berichte – Nr. 2339

DOI: 10.60584/G26-16

Impressum

Herausgeber

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen

Thema

Vamorolon (Duchenne-Muskeldystrophie) – Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V

Auftraggeber

Gemeinsamer Bundesausschuss

Datum des Auftrags

15.06.2026

Interne Projektnummer

G26-16

DOI-URL

<https://doi.org/10.60584/G26-16>

Anschrift des Herausgebers

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen
Siegburger Str. 237
50679 Köln

Tel.: +49 221 35685-0
Fax: +49 221 35685-1
E-Mail: info@iqwig.de
Internet: www.iqwig.de

ISSN: 1864-2500

Zitiervorschlag

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen. Vamorolon (Duchenne-Muskeldystrophie); Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V; Dossierbewertung [online]. 2026 [Zugriff: TT.MM.JJJJ]. URL: <https://doi.org/10.60584/G26-16>.

Schlagwörter

Vamorolon, Muskuläre Dystrophie – Duchenne, Kind, Medizinische Versorgungskosten, Epidemiologie

Keywords

Vamorolone, Muscular Dystrophy – Duchenne, Child, Health Care Costs, Epidemiology

Medizinisch-fachliche Beratung

Für die vorliegende Dossierbewertung wurde keine Beraterin / kein Berater zu medizinisch-fachlichen Fragen eingebunden.

An der Dossierbewertung beteiligte Mitarbeiterinnen und Mitarbeiter des IQWiG

- Mandy Kromp
- Maximilian Kind
- Sarah Mostardt
- Corinna ten Thoren

Inhaltsverzeichnis

	Seite
Tabellenverzeichnis	v
Abkürzungsverzeichnis.....	vi
1 Hintergrund.....	1
2 Anzahl der Patienten sowie Kosten der Therapie.....	2
2.1 Kommentar zur Anzahl der Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen (Modul 3 A, Abschnitt 3.2)	2
2.1.1 Beschreibung der Erkrankung und Charakterisierung der Zielpopulation.....	2
2.1.2 Anzahl der Patienten in der GKV-Zielpopulation	2
2.1.2.1 Beschreibung des Vorgehens des pU	2
2.1.2.2 Bewertung des Vorgehens des pU.....	3
2.1.2.3 Zukünftige Änderung der Anzahl der Patienten	4
2.1.2.4 Anzahl der Patienten – Zusammenfassung	4
2.2 Kommentar zu den Kosten der Therapie für die GKV (Modul 3 A, Abschnitt 3.3)....	5
2.2.1 Behandlungsdauer und Verbrauch.....	5
2.2.2 Kosten des zu bewertenden Arzneimittels	5
2.2.3 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen.....	5
2.2.4 Jahrestherapiekosten für die GKV – Zusammenfassung.....	6
2.2.5 Versorgungsanteile.....	7
3 Literatur	8

Tabellenverzeichnis

	Seite
Tabelle 1: Schritte des pU zur Ermittlung der Anzahl der Patienten in der GKV-Zielpopulation	2
Tabelle 2: Anzahl der Patienten in der GKV-Zielpopulation	4
Tabelle 3: Kosten für die GKV für die zu bewertende Therapie pro Patient bezogen auf 1 Jahr.....	6

Abkürzungsverzeichnis

Abkürzung	Bedeutung
BMD	Becker-Muskeldystrophie
DMD	Duchenne-Muskeldystrophie
G-BA	Gemeinsamer Bundesausschuss
GKV	gesetzliche Krankenversicherung
IQWiG	Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen
pU	pharmazeutischer Unternehmer
SGB	Sozialgesetzbuch

1 Hintergrund

Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) beauftragte das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG), das Dossier des pharmazeutischen Unternehmers (pU) im Hinblick auf die folgenden Angaben zu bewerten:

- Anzahl der Patienten in der Zielpopulation der gesetzlichen Krankenversicherung (GKV)
- Kosten der Therapie für die GKV

Das Dossier wurde dem IQWiG am 15.06.2026 übermittelt.

Die Verantwortung für die vorliegende Bewertung und für das Bewertungsergebnis liegt ausschließlich beim IQWiG. Die Bewertung wird zur Veröffentlichung an den G-BA übermittelt, der ein Stellungnahmeverfahren durchführt. Über die Anzahl der Patienten in der GKV-Zielpopulation sowie über die Kosten der Therapie für die GKV beschließt der G-BA.

Weitere Informationen zum Stellungnahmeverfahren und zur Beschlussfassung des G-BA sowie die Module 1 bis 4 des Dossiers des pU finden sich auf der Website des G-BA (www.g-ba.de).

2 Anzahl der Patienten sowie Kosten der Therapie

2.1 Kommentar zur Anzahl der Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen (Modul 3 A, Abschnitt 3.2)

2.1.1 Beschreibung der Erkrankung und Charakterisierung der Zielpopulation

Die Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) stellt der pU nachvollziehbar und plausibel dar.

Die Zielpopulation charakterisiert der pU korrekt gemäß der Fachinformation von Vamorolon [1]. Demnach wird Vamorolon für die Behandlung von DMD bei Patienten ab 2 Jahren angewendet. In der vorliegenden Dossierbewertung werden im Zuge der Indikationserweiterung ausschließlich Patienten im Alter von 2 bis unter 4 Jahren betrachtet, da Vamorolon für Patienten mit DMD ab 4 Jahren bereits bewertet wurde [2].

2.1.2 Anzahl der Patienten in der GKV-Zielpopulation

2.1.2.1 Beschreibung des Vorgehens des pU

Der pU schätzt die Anzahl der Patienten in der Zielpopulation der GKV über mehrere Schritte, die in Tabelle 1 zusammenfassend dargestellt und im Folgenden beschrieben werden.

Tabelle 1: Schritte des pU zur Ermittlung der Anzahl der Patienten in der GKV-Zielpopulation

Schritt	Vorgehen des pU	Anteil	Ergebnis (Patientenzahl)
Ausgangsbasis	männlicher Bevölkerungsstand in Deutschland im Jahr 2025	–	41 140 800
1	Prävalenz der männlichen DMD-Fälle	4,82–5,26 pro 100 000	1983–2162
	davon 0 bis 3 Jahre	–	40–69
	davon ≥ 2 bis < 4 Jahre	50 %	20–35
2	GKV-Zielpopulation im Jahr 2025	87,58 %	18–31
DMD: Duchenne-Muskeldystrophie; GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer			

Schritt 1: Prävalenz der Duchenne-Muskeldystrophie

Der pU hat eine Handsuche zur Prävalenz der DMD in der Gruppe der 2- bis < 4 -Jährigen in Deutschland durchgeführt und berichtet über eine Publikation, in der die Prävalenz der DMD für unterschiedliche Länder und Altersgruppen geschätzt wird [3]. In dem von Lorenz et al. [3] entwickelten Modell werden Daten aus einer gezielten Literaturrecherche zu länderspezifischen Inzidenzdaten einschließlich historischer Trends, Diagnosealter, Überlebensdaten sowie zur Anzahl männlicher Lebendgeburten integriert und für verschiedene Länder Prävalenzschätzungen für die Gesamtpopulation sowie für Subgruppen hergeleitet. Der Publikation entnimmt der pU für das Jahr 2023 eine Spanne von 1983 bis 2162

Personen mit DMD in Deutschland. Bezogen auf die in der Publikation angegebene Anzahl der männlichen Bevölkerung im Jahr 2023 ($n = 41\,109\,000$ [3]) berechnet der pU eine Prävalenzrate von 4,82 bis 5,26 DMD-Fälle pro 100 000 Personen. Anschließend extrapoliert der pU die Patientenzahlen auf Grundlage der für das Jahr 2023 ermittelten Raten und der aktuellen Bevölkerungszahlen der männlichen Gesamtbevölkerung in Deutschland auf die Jahre 2024 und 2025. Der Publikation von Lorenz et al. [3] ist zudem für Deutschland eine Spanne von 40 bis 69 DMD-Patienten im Alter von 0 bis 3 Jahren [3] zu entnehmen. Da sich die vorliegende Indikationserweiterung auf die Altersgruppe der 2- bis < 4-Jährigen bezieht, halbiert der pU diese Angabe und gibt für DMD-Patienten im Alter von 2 bis < 4 Jahren eine Spanne von 20 bis 35 Patienten an. Der pU zieht zur Bestätigung seiner hergeleiteten Zahlen zudem eine aktuelle Registerdatenauswertung des Klinikums der Ludwig-Maximilians-Universität aus dem Jahr 2026 heran, in der laut pU 18 Teilnehmende mit DMD und Becker-Muskeldystrophie (BMD) im Alter von 2 und 3 Jahren registriert sind [4].

Schritt 2: Patienten in der GKV-Zielpopulation

Auf Basis von Angaben zur Anzahl der männlichen Versicherten in der GKV im Jahr 2025 [5] sowie zur männlichen Gesamtbevölkerung im Jahr 2025 [6] berechnet der pU einen GKV-Anteil von 87,58 % und multipliziert diesen mit den Anzahlen aus Schritt 1. Es ergeben sich 18 bis 31 Patienten im Alter von 2 bis < 4 Jahren mit DMD in der GKV-Zielpopulation.

2.1.2.2 Bewertung des Vorgehens des pU

Das Vorgehen des pU zur Schätzung der Anzahl der Patienten in der GKV-Zielpopulation ist mit Unsicherheit behaftet. Die Gründe hierfür werden nachfolgend dargestellt:

Zu Schritt 1: Prävalenz der Duchenne-Muskeldystrophie

Bei der vom pU zugrunde gelegten Publikation von Lorenz et al. [3] handelt es sich um ein epidemiologisches Modell, bei dem Daten aus verschiedenen Datenquellen kombiniert wurden. Angaben zur Inzidenz und zum Alter bei Diagnose der deutschen Betroffenen stammen dabei teilweise aus Studien mit länger zurückliegendem Datenstand (beispielsweise aus der Publikation von König et al. [7], in der Geburten aus den Jahren 1995 bis 2018 berücksichtigt wurden). Weiterhin bleibt hinsichtlich der eingeflossenen Daten zum Überleben der Betroffenen im epidemiologischen Modell von Lorenz et al. [3] unklar, welche Daten aus welchen Publikationen exakt zur Modellierung der Prävalenz bei deutschen Patienten verwendet wurden. Schließlich ist aus der Publikation [3] nicht detailliert ersichtlich, wie die Informationen aus den verschiedenen Datenquellen im Modell miteinander verknüpft wurden, um die Patientenzahlen für Deutschland zu berechnen, aus denen der pU die Prävalenzrate bestimmt hat.

Der pU leitet zudem die Prävalenz für Patienten im Alter von 2 bis < 4 Jahren durch eine einfache Halbierung der Patientenzahlen der 0- bis 3-Jährigen ab. Dieses Vorgehen setzt die Annahme voraus, dass in jedem Lebensjahr gleich viele Fälle auftreten.

Die ergänzend dargestellte Anzahl von 18 im Dystrophinopathie-Register registrierten Personen [4] umfasst neben den relevanten Patienten mit DMD auch jene mit BMD und es ist unklar, wie hoch der Anteil derjenigen mit BMD ist. Darüber hinaus bezieht sich die Angabe auf diagnostizierte Patienten, die zum Zeitpunkt der Abfrage das 2. oder 3. Lebensjahr erreicht haben [4], d. h. diese Kinder sind entweder 1 oder 2 Jahre alt. Die 1-jährigen Kinder sind allerdings nicht Teil des vorliegenden Anwendungsgebiets.

Weiterer Bewertungsaspekt

In der Dossierbewertung zu Vamorolon aus dem Jahr 2024 [2] wurde eine Spanne von 737 bis 3670 Patienten mit DMD für alle Altersgruppen berechnet. In der nun vorgelegten Publikation von Lorenz et al. [3] wurden mit Bezug auf Deutschland eine Prävalenzspanne von 1983 bis 2162 männliche Betroffene bestimmt. Diese Angaben liegen innerhalb der Spanne der Patientenzahlen, die in der Dossierbewertung im vorangegangenen Verfahren zu Vamorolon bestimmt wurde. Die in der Publikation von Lorenz et al. [3] mit Bezug auf Deutschland bestimmte Spanne der Patienten mit DMD ist, wie oben ausgeführt, mit Unsicherheit behaftet.

2.1.2.3 Zukünftige Änderung der Anzahl der Patienten

Der pU führt aus, dass es aktuell keine Anhaltspunkte für eine bedeutsame Veränderung der der Anzahl der 2- bis < 4-jährigen DMD-Patienten in Deutschland gäbe. Daher nimmt der pU an, dass die Anzahl der Patienten in der Zielpopulation in den kommenden Jahren stabil bleibt.

2.1.2.4 Anzahl der Patienten – Zusammenfassung

Tabelle 2: Anzahl der Patienten in der GKV-Zielpopulation

Bezeichnung der Therapie	Bezeichnung der Patientengruppe	Anzahl der Patienten ^a	Kommentar
Vamorolon	Patienten ab 2 bis unter 4 Jahren mit DMD	18–31	Die Angabe des pU ist mit Unsicherheit behaftet.
a. Angabe des pU DMD: Duchenne-Muskeldystrophie; GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer			

2.2 Kommentar zu den Kosten der Therapie für die GKV (Modul 3 A, Abschnitt 3.3)

2.2.1 Behandlungsdauer und Verbrauch

Die Angaben des pU zur Behandlungsdauer und zum Verbrauch von Vamorolon entsprechen weitgehend der Fachinformation [1]. Demnach erfolgt die Gabe von Vamorolon als Suspension 1-mal täglich an 365 Behandlungstagen im Jahr. Der pU geht von einer kontinuierlichen Behandlung aus. Dies ist plausibel.

Der Verbrauch von Vamorolon richtet sich nach dem Körpergewicht: Bis zu einem Körpergewicht von 40 kg entspricht die empfohlene Dosierung 6 mg pro kg Körpergewicht [1]. Je nach individueller Verträglichkeit kann die tägliche Dosis auf 4 oder 2 mg/kg heruntertitriert werden [1]. Der pU geht von einem durchschnittlichen Körpergewicht für Jungen von 15,3 kg im Alter von 2 bis unter 3 Jahren sowie 17,6 kg im Alter von 3 bis unter 4 Jahren gemäß den aktuellen Mikrozensusdaten des Statistischen Bundesamtes aus dem Jahr 2025 [8] aus. Auf dieser Grundlage legt der pU die Dosierungen für Kinder mit einem Körpergewicht von 14 kg bis 19 kg auf Grundlage der Dosierungstabelle in der Fachinformation [1] fest. Als untere Grenze verwendet der pU eine Dosierung von 28 mg Vamorolon (2 mg/kg/Tag) und als obere Grenze 108 mg Vamorolon (6 mg/kg/Tag) täglich. Die Angaben des pU sind plausibel.

2.2.2 Kosten des zu bewertenden Arzneimittels

Die Angaben des pU zu den Kosten von Vamorolon geben korrekt den Stand der Lauer-Taxe vom 01.06.2026 wieder.

2.2.3 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen

Der pU gibt keine Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen an. Dies ist nachvollziehbar.

2.2.4 Jahrestherapiekosten für die GKV – Zusammenfassung

Tabelle 3: Kosten für die GKV für die zu bewertende Therapie pro Patient bezogen auf 1 Jahr

Bezeichnung der Therapie	Bezeichnung der Patientengruppe	Arzneimittelkosten in € ^a	Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen in € ^a	Kosten für sonstige GKV-Leistungen (gemäß Hilfstaxe) in € ^a	Jahrestherapiekosten in € ^a	Kommentar
Vamorolon	Patienten ab 2 bis unter 4 Jahren mit DMD	9005,81–34 736,71	0	0	9005,81–34 736,71	Die Angaben des pU beinhalten ausschließlich Arzneimittelkosten und sind plausibel.
a. Angabe des pU						
DMD: Duchenne-Muskeldystrophie; GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer						

2.2.5 Versorgungsanteile

Der pU gibt an, dass gemäß Fachinformation [1] prinzipiell alle Patienten mit DMD ab 2 Jahren infrage kommen. Er erwähnt als Kontraindikationen die Überempfindlichkeit gegenüber Vamorolon oder den Bestandteilen des Arzneimittels, eine schwere Leberfunktionsstörung sowie die Anwendung von Lebendimpfstoffen oder abgeschwächten Lebendimpfstoffen 6 Wochen vor Beginn der Behandlung und während der Behandlung. Der pU macht jedoch keine quantitativen Angaben zu den Versorgungsanteilen von Vamorolon.

3 Literatur

Das Literaturverzeichnis enthält Zitate des pU, in denen ggf. bibliografische Angaben fehlen.

1. Santhera Pharmaceuticals. Fachinformation - AGAMREE 40 mg/ml Suspension zum Einnehmen - Vamorolon. 05.2026.
2. Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen. Vamorolon (Duchenne-Muskeldystrophie); Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V; Dossierbewertung [online]. 2024 [Zugriff: 17.04.2024]. URL: <https://doi.org/10.60584/G24-02>.
3. Lorenz C, Kapoor A, Tomar A et al. Modelling the epidemiology of Duchenne muscular dystrophy provides insights into the overall population and selected subpopulations in nine countries. Journal of Rare Diseases 2025; 4(1): 73. <https://doi.org/10.1007/s44162-025-00132-8>.
4. LMU Klinikum. Patientenzahlen aus dem DMD- und BMD- Patientenregister mit Stand vom 20.03.2026.
5. Statistisches Bundesamt. Code: 12612-0001 - Lebendgeborene: Deutschland, Jahre, Geschlecht - Verfügbarer Zeitraum: 1950-2024 - Stand: 19.03.2026.
6. Statistisches Bundesamt. Vorausberechneter Bevölkerungsstand: Deutschland, Stichtag, Varianten der Bevölkerungsvorausberechnung, Geschlecht, Altersjahre - Stand: 26.03.2026.
7. König K, Pechmann A, Thiele S et al. De-duplicating patient records from three independent data sources reveals the incidence of rare neuromuscular disorders in Germany. Orphanet J Rare Dis 2019; 14(152). <https://doi.org/10.1186/s13023-019-1125-2>.
8. Gesundheitsberichterstattung des Bundes. Durchschnittliche Körpermaße der Bevölkerung (Größe in m, Gewicht in kg). Gliederungsmerkmale: Jahre, Deutschland, Alter, Geschlecht - Bezug: Jahr: 2025, Geschlecht: Männlich. 2026.