

Т.А. Гремякова<sup>1,2</sup>, О.И. Гремякова<sup>1</sup>, А.И. Гремяков<sup>1</sup>, С.Б. Артемьева<sup>3</sup>,  
Д.В. Влодавец<sup>3</sup>, Л.М. Кузенкова<sup>4</sup>, С.В. Михайлова<sup>5</sup>, Е.Е. Петрайкина<sup>5</sup>,  
Е.Л. Усачева<sup>5</sup>, А.Г. Румянцев<sup>6</sup>, С.И. Куцев<sup>7</sup>, А.В. Поляков<sup>7</sup>, С.В. Воронин<sup>7</sup>,  
В.М. Суслов<sup>8</sup>, А.А. Степанов<sup>2</sup>, Г.Е. Сакбаева<sup>2</sup>, Е.В. Шрёдер<sup>2</sup>, Е.В. Зинина<sup>7</sup>,  
М.Ю. Комарова<sup>2</sup>, Н.С. Смирнова<sup>9</sup>

## ПАТОГЕНЕТИЧЕСКАЯ ТЕРАПИЯ ПРОГРЕССИРУЮЩЕЙ МЫШЕЧНОЙ ДИСТРОФИИ ДЮШЕННА ГЛЮКОКОРТИКОСТЕРОИДНЫМИ ПРЕПАРАТАМИ СИСТЕМНОГО ДЕЙСТВИЯ: МНН ВАМОРОЛОН

<sup>1</sup>Благотворительный фонд «Гордей», г. Москва, <sup>2</sup>ФГБУ «Центральная клиническая больница с поликлиникой» Управления делами Президента Российской Федерации, г. Москва,

<sup>3</sup>Научно-исследовательский клинический институт педиатрии и детской хирургии им. акад. Ю.Е. Вельтищева ФГАОУ ВО «РНИМУ им. Н.И. Пирогова» МЗ РФ, г. Москва,

<sup>4</sup>ФГАУ «Национальный медицинский исследовательский центр здоровья детей» МЗ РФ, г. Москва,

<sup>5</sup>Российская детская клиническая больница – филиал ФГАОУ ВО «РНИМУ им. Н.И. Пирогова» МЗ РФ, г. Москва, <sup>6</sup>ФГАОУ ВО «Российский национальный исследовательский медицинский университет им. Н.И. Пирогова» МЗ РФ, г. Москва, <sup>7</sup>ФГБНУ «Медико-генетический научный центр им. акад.

Н.П. Бочкова» Минобрнауки России, г. Москва, <sup>8</sup>ФГБОУ ВО «Санкт-Петербургский государственный педиатрический медицинский университет» МЗ РФ, г. Санкт-Петербург,

<sup>9</sup>Национальный Совет экспертов по редким заболеваниям, Экспертный совет ГД РФ по охране здоровья по редким (орфанным) заболеваниям, г. Москва, РФ

Глюкокортикостероиды (ГКС) – золотой стандарт современного комплексного патогенетического лечения прогрессирующей мышечной дистрофии Дюшенна (МДД). Действие ГКС при МДД реализуется путем снижения воспалительных процессов и некроза в мышцах, модуляции их регенерации и энергетического обмена, замедления развития кардиомиопатии и дыхательной недостаточности. Результатом длительного применения стероидной терапии при МДД являются замедление скорости прогрессирования заболевания, продление способности детей ходить на несколько лет, повышение их продолжительности жизни. Наряду с положительными эффектами от длительной стероидной терапии наблюдаются многочисленные побочные эффекты, ограничивающие ее применение. Появление вamorолон – химической модификации применяемых в настоящее время стероидных препаратов (преднизон, преднизолон, дефлазаkort) с достоверно улучшенным соотношением польза/вред, одобренного международными регуляторными организациями США, ЕС, Великобритании, Китая, безусловно, создает предпосылки и перспективу более доброкачественного течения МДД при использовании его в составе комплексной терапии, возможности коррекции таких осложнений, как остеопороз, уменьшение скорости роста детей вплоть до полной многолетней остановки роста, отсутствие полового развития.

**Ключевые слова:** прогрессирующая мышечная дистрофия Дюшенна, дистрофин, глюкокортикостероиды, преднизон, преднизолон, дефлазаkort, вamorолон.

**Цит.:** Т.А. Гремякова, О.И. Гремякова, А.И. Гремяков, С.Б. Артемьева, Д.В. Влодавец, Л.М. Кузенкова, С.В. Михайлова, Е.Е. Петрайкина, Е.Л. Усачева, А.Г. Румянцев, С.И. Куцев, А.В. Поляков, С.В. Воронин, В.М. Суслов, А.А. Степанов, Г.Е. Сакбаева, Е.В. Шрёдер, Е.В. Зинина, М.Ю. Комарова, Н.С. Смирнова. Патогенетическая терапия прогрессирующей мышечной дистрофии Дюшенна глюкокортикостероидными препаратами системного действия: МНН вamorолон. Педиатрия им. Г.Н. Сперанского. 2025; 104 (3): 8–24. DOI:

### Контактная информация:

Гремякова Татьяна Андреевна – д.м.н.,  
начальник высокотехнологичного нейромышечного  
центра ФГБУ «Центральная клиническая  
больница с поликлиникой» Управления делами  
Президента РФ, Президент Благотворительного  
фонда «Гордей»  
Тел.: +7 (903) 017-55-33  
E-mail: tag@dmd-russia.ru  
Статья поступила 28.05.25  
Принята к печати 30.05.25

### Contact details:

Гремякова Татьяна Андреевна –  
Phone: +7 (903) 017-55-33  
E-mail: tag@dmd-russia.ru  
Received on May 28, 2024  
Submitted for publication on May 30, 2025

**Keywords:****For citation:** *Pediatrics n.a. G.N. Speransky. 2025; 104 (3): 8–24. DOI:*

Медицинская помощь детям с прогрессирующей мышечной дистрофией Дюшенна (МДД) направлена на замедление прогрессирования заболевания, сохранение способности детей передвигаться самостоятельно, предупреждение формирования необязательных для данного заболевания инвалидизирующих осложнений. С внедрением в практику терапии глюкокортикоидными (ГКС), физической терапии и реабилитации, кардиопревенции и кардиотерапии, респираторной поддержки продолжительность жизни больных увеличилась на 10–15 лет, ее среднее значение приближается в настоящее время к 30 годам. Применение ГКС – золотой стандарт современного комплексного патогенетического лечения МДД [1–5].

Стероидные гормоны играют важную роль в широком спектре физиологических функций организма, включая рост, развитие, энергетический обмен, гомеостаз и репродукцию. Экспериментальные данные подтверждают плейотропные механизмы действия ГКС на дистрофические мышцы [6].

Патогенетические механизмы ГКС при МДД реализуются различными путями [2, 6–10].

**Противовоспалительное действие.** Основная мишень ГКС при МДД – хроническое непрекращающееся воспаление и разрушение мышечных волокон, где из-за дефицита дистрофина постоянно происходит микроповреждение сарколеммы с инфильтрацией мышц воспалительными клетками и активацией иммунно-

го ответа. Подавление воспаления уменьшает некроз мышечных клеток и замедляет их гибель.

**Снижение скорости апоптоза и некроза мышечных клеток.** ГКС уменьшают апоптоз и некроз миофибрилл, что позволяет дольше сохранять мышечную массу и функцию.

**Модуляция клеточного ответа и регенерация мышц.** ГКС усиливают пролиферацию миогенных стволовых клеток-предшественников (миобластов), что способствует регенерации и росту мышц. Это частично компенсирует потерю мышечных волокон из-за дистрофии.

**Влияние на экспрессию генов.** ГКС способны изменять транскрипцию генов, что приводит к повышению экспрессии дистрофина (если остаточная функция гена сохранена) или увеличению синтеза синергетических молекул (например, мышечных гликопротеинов), которые частично берут на себя функцию дистрофина и стабилизируют сарколемму.

**Улучшение энергетического обмена.** Повышение уровней метаболических маркеров мышечной энергии, двигательной активности, снижение чувства усталости при МДД.

**Повышение силы и сократимости мышц. Сохранение двигательных функций.** За счет всех вышеуказанных эффектов ГКС улучшают моторные функции в раннем возрасте, сохраняют их в более продвинутых стадиях МДД, снижают риск ортопедических осложнений, уменьшают частоту развития инвалидизирующего сколиоза, увеличивают продолжительность жизни пациентов.

**Замедление развития кардиомиопатии** – кардиопротекция вместе со стероидной терапией максимально замедляют развитие левожелудочковой недостаточности.

**Сохранение дыхательной функции** – продолжительное использование ГКС после потери способности ходить замедляет снижение функции легких у мальчиков с МДД и откладывает на более поздние годы необходимость использования респираторной поддержки.

**Молекулярные аспекты.** ГКС взаимодействуют с ГКС-рецепторами (GR), которые регулируют экспрессию генов, связанных с воспалением, апоптозом и регенерацией мышц [6, 9, 10].

Наряду с положительными эффектами применяемых в настоящее время ГКС при МДД (преднизолон, дефлазакорт), у них имеются серьезные побочные эффекты, ограничивающие применение, такие как отрицательное влияние на костную систему и рост детей [1–11]. У многих пациентов отмечается замедление вплоть до полной остановки роста и полового созревания. Еще одним немаловажным нежелательным эффектом ГКС является развитие стероидного синдрома Иценко–Кушинга, что приводит к осложненному течению МДД, более быстрому прогрессированию заболевания и ранней потере амбулаторности. Важно иметь в виду, что

в случае получения ребенком генной терапии, увеличение веса ведет к удорожанию лечения, так как доза генных препаратов рассчитывается на актуальный вес ребенка [12–16].

Ваморолон (VBP15) — ГКС, разработанный и рекомендованный компанией Santhera Pharmaceuticals для лечения МДД. Santhera Pharmaceuticals — швейцарская специализированная фармацевтическая компания, занимающаяся разработкой и коммерциализацией инновационных лекарственных средств для удовлетворения потребностей пациентов, страдающих редкими и другими заболеваниями с высоким уровнем неудовлетворенных медицинских потребностей. Компания сосредоточена на разработке методов лечения нервно-мышечных заболеваний, для которых в настоящее время ограничены терапевтические возможности, таких как МДД.

Ваморолон одобрен пациентам от 4 лет (в США от 2 лет) ведущими мировыми регуляторными организациями: Управление по санитарному надзору за качеством пищевых продуктов и медикаментов (FDA) (октябрь 2023 г.), Европейское медицинское агентство (EMA) (декабрь 2023 г.), National Institute for Health and Care Excellence (NICE), Великобритания (2024) и National Medical Products Administration (NMPA), Китай (2024) [17].

Ваморолон обладает рядом уникальных и превосходящих в своей безопасности известные ГКС-препараты качества, таких как ингибирование NF-κB, стабилизация мембран мышечных клеток и высокая специфичность к ГКС-рецепторам [10, 18]. Он относится к группе диссоциативных стероидов, в которых достигается разделение терапевтических и побочных эффектов. По химической и 3D структуре ваморолон близок к используемым ГКС, но в гораздо меньшей степени стимулирует провоспалительный ответ при связывании с ядерными ГКС-рецепторами. Ключевые изменения в сравнении с молекулой преднизолона – создание двойной связи 9, 11 в скелете молекулы, за счет этого соединение связывается с ГКС-рецепторами, но связь препятствует образованию их димеров, опосредующих транскрипцию провоспалительных генов-мишеней. Показано, что ваморолон обладает способностью стабилизировать мембраны [10, 18].

Эффективность ваморолона для лечения МДД оценивали в многоцентровом рандомизированном двойном слепом плацебо- и активно-контролируемом многонациональном 24-недельном исследовании в параллельных группах (NCT03439670). Первичные конечные точки (скорость подъема с пола из положения лежа на спине TTSTAND) и ключевые вторичные конечные точки (6MWT – тест 6-минутной ходьбы, TTRW – время ходьбы/бега на 10 м) были достигнуты для группы, получавшей ваморолон [19–21].

Одобрение регуляторов основано на данных положительного опорного клинического исследования (КИ) VISION-DMD и трех открытых исследований, в которых вamorолон назначали в дозах от 2 до 6 мг/кг/день в течение 30 месяцев [21]. В базовом КИ VISION-DMD у мальчиков, получавших вamorолон, в среднем, сохранялся рост, аналогичный таковому у мальчиков, получавшим плацебо, в то время как у мальчиков на лечении преднизолоном, в среднем, наблюдалась задержка роста. Пациенты, перешедшие с преднизона на вamorолон, через 24 недели, в среднем, смогли возобновить рост в течение оставшейся части КИ. На всех стадиях исследования препарат продемонстрировал безопасность и хорошую переносимость пациентами на высокой дозе (6,0 мг/кг/сут) и фармакокинетику, схожую с преднизолоном. Используя фармакодинамические биомаркеры, была показана более высокая безопасность вamorолонa по сравнению с используемыми ГКС, о чем свидетельствуют уменьшение резистентности к инсулину, благоприятные изменения костного метаболизма (уменьшение костной резорбции и восстановление уровней биомаркеров обновления костной ткани) и снижение супрессии надпочечников.

Спустя почти год лечения у пациентов, перешедших с преднизона на вamorолон, не наблюдали снижения эффективности лечения. У этих пациентов наблюдали снижение побочных эффектов на 30%, в т.ч. связанных с ГКС на 60%, включая повышение плотности костной ткани, снижение количества переломов, стабилизацию массы тела, нормализацию поведенческих реакций [19].

Вamorолон выпускается в стеклянных флаконах, содержащих 100 мл суспензии для приема внутрь, в 1 мл суспензии содержится 40 мг вamorолонa. Рекомендованная начальная ежедневная доза препарата вamorолонa составляет 6 мг/кг. Суточная доза может быть снижена до 4 мг/кг или 2 мг/кг в зависимости от индивидуальной переносимости. Максимальная суточная доза вamorолонa – 240 мг при массе тела более 40 кг [17]. Пациентам следует назначать максимально переносимую дозу в пределах допустимого диапазона доз [17].

ЕМА признало клинически важные преимущества безопасности вamorолонa в отношении поддержания нормального метаболизма, плотности и роста костей сравнительно со стандартными ГКС. В отличие от других ГКС, вamorолон, по данным костных биомаркеров, не приводил к снижению плотности костной ткани, минерализации костной ткани позвоночника. У пациентов, перешедших со стандартного лечения кортикостероидами на вamorолон, наблюдали восстановление роста детей и здоровья костей без потери эффективности [20–22].

Вamorолон – единственный лекарственный препарат по показанию прогрессирующая мио-

дистрофия Дюшенна, получивший безусловное одобрение в ЕМА, FDA, NICE, NMPA. Он оказывает влияние на спектр патологических звеньев МДД, но с меньшим спектром нежелательных явлений, присущих другим ГКС, применяемым для терапии МДД. Изученные в исследовании биомаркеры подтверждают противовоспалительный механизм действия вamorолонa и его благоприятное влияние на стабильность клеточных мембран, проявляемое дозозависимым снижением активности сывороточной креатинфосфокиназы (КФК, маркер разрушения мышечных клеток при МДД) [20–22].

Сравнительные свойства трех используемых в международной практике при терапии МДД глюкокортикостероидов представлены в таблице. Вamorолон – единственный препарат из группы ГКС, который при МДД назначается согласно инструкции, два других препарата используются off-label. Разработчики полагают, что использование вamorолонa имеет больший потенциал для снижения воспалительных процессов и повреждений мышц, сохранения опорно-двигательного аппарата, способности детей двигаться и расти, уменьшения проблем с поведенческими реакциями, чем это наблюдается в настоящее время с использованием преднизолонa или дефлазакорта. Согласно инструкции, пациентам, переходящим на вamorолон после длительного лечения пероральными ГКС, следует начинать прием вamorолонa с дозы 6 мг/кг/сут [17]. По результатам КИ рекомендации для перевода детей, уже получающих стандартные ГКС, на терапию вamorолоном: остеопороз, переломы костей в анамнезе (трубчатые кости или позвонки), остановка/замедление скорости роста (менее 4 см в год), отсутствие полового развития (12+) [20–22].

Актуальным является вопрос комплексной терапии вamorолоном и генотерапевтическими препаратами (пропуск экзонов, прочитывание преждевременного стоп-кодона и генозаместительной терапии). Препараты, воздействующие на ген *DMD*, назначаются строго по показаниям (тип мутации, возраст, стадия заболевания) и при сочетании с вamorолоном могут демонстрировать синергидное действие, замедляя траекторию прогрессирования болезни [23]. Комплексная терапия вamorолоном и генными препаратами (кроме генозаместительной терапии в период ее проведения и в восстановительном периоде после инфузии) при ММД – перспективный подход, который позволит комбинировать их системное действие на различные звенья патогенеза МДД с таргетным воздействием на генетические механизмы болезни для улучшения прогноза, продолжительности и качества жизни пациентов.

В связи с увеличением продолжительности жизни пациентов с МДД при генотерапии возникает также необходимость в более длительном применении ГКС-терапии. В клиниче-

Сравнительные свойства ГКС для терапии МДД [2]

Параметры сравнения		Преднизолон	Дефлазакорт	Ваморолон
Одобрение регулятора по показанию МДД		Нет	FDA	EMA, FDA, NICE, NMPA
Патогенетическое звено	NF-κB (GR-зависимый)	Противовоспалительный эффект	Противовоспалительный эффект	Противовоспалительный эффект
	GRE (GR-зависимый)	Активация	Активация	Нет активации
	MRE	Активация	Нет активации	Антагонист
	Стабилизация мембран	–	–	+
Функциональные тесты	TTSTAND	Улучшение	Улучшение	Улучшение
	6MWT	Улучшение	Улучшение	Улучшение
	TTRW	Улучшение	Улучшение	Улучшение
	Амбулаторность	Продление	Продление	Продление
Безопасность	Половое созревание	Задержка	Задержка	Сохранение
	Состояние костной системы	Негативное воздействие	Негативное воздействие	Сохранение
	Задержка жидкости	Да	Нет	Нет
	Безопасность	+	++	+++
	Нежелательные явления	+++	++	+
	Рост	Задержка	Остановка	Сохранение

ских рекомендациях патогенетическая терапия ГКС включает единственный препарат — преднизолон [1]. Использование диссоциативного кортикостероида ваморолон, способного нивелировать побочные эффекты стандартно применяемой терапии преднизолоном, представляет возможность коррекции необязательных для нозологии осложнений, в частности, остеопороза, уменьшения скорости роста детей вплоть до полной многолетней остановки роста, ненаступления пубертата. В этой ситуации ГКС с уменьшенным спектром нежелательных явлений актуальны и востребованы как препараты современной и перспективной комплексной терапии МДД.

**Вклад авторов:** все авторы в равной степени внесли свой вклад в рукопись, рассмотрели ее окончательный вариант и дали согласие на публикацию.

**Финансирование:** все авторы заявили об отсутствии финансовой поддержки при подготовке данной рукописи.

**Конфликт интересов:** все авторы заявили об отсутствии конкурирующих интересов.

**Примечание издателя:** ООО «Педиатрия» остается нейтральным в отношении юрисдикционных претензий на опубликованные материалы и институциональных принадлежностей.

**Authors' contributions:** all authors contributed equally to this manuscript, revised its final version and agreed for the publication.

**Funding:** all authors received no financial support for this manuscript.

**Conflict of Interest:** the authors declare that they have no conflict of interest.

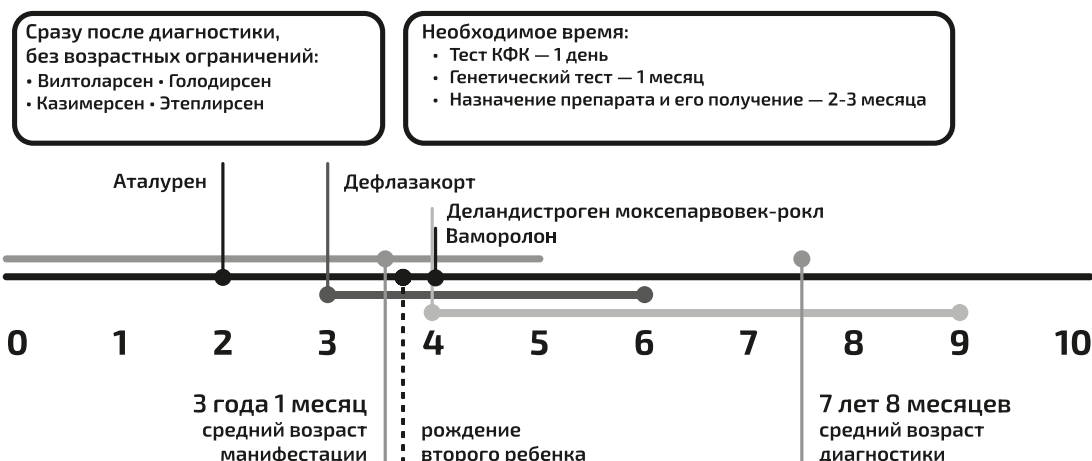
**Publisher's Note:** Pediatrics LLC remains neutral with regard to jurisdictional claims in published materials and institutional affiliations.

Gremyakova T.A.  0000-0001-7317-3971X  
 Gremyakova O.I.  0000-0001-8607-1819  
 Gremiakov F.I.  0009-0007-2016-2823  
 Artemyeva S.B.  /0000-0002-8876-7462  
 Vlodayets D.V.  0000-0003-2635-2752  
 Mikhaylova S.V.  0000-0002-2115-985X  
 Nazarenko L.P.  0000-0002-1861-433X  
 Polyakov A.V.  0000-0002-0105-1833  
 Sakbaeva G.E.  0000-0002-3651-851X  
 Stepanov A.A.  0000-0001-7634-5783  
 Suslov V.M.  0000-0002-5903-8789  
 Rumyantsev A.G.  0000-0002-1643-5960  
 Kuzenkova L.M.  0000-0003-2635-2752  
 Petrikina E.E.  0000-0002-8520-2378  
 Usacheva E.L.  0009-0009-5259-6655  
 Kutsev S.I.  0000-0002-3133-8018  
 Voronin S.V.  0000-0002-9918-9565  
 Shreder E.V.  000-0003-0031-1389  
 Zinina E.V.  0000-0001-5017-70996  
 Komarova M.Yu.  0009-0008-5036-4300  
 Smirnova N.S.  0000-0002-0657-1264

# ВРЕМЯ ИМЕЕТ ЗНАЧЕНИЕ

## ТАЙМЛАЙН МАНИФЕСТАЦИИ И ДИАГНОСТИКИ МДД

НАЗНАЧЕНИЕ ПАТОГЕНЕТИЧЕСКОЙ ТЕРАПИИ



### Список литературы

1. Прогрессирующая мышечная дистрофия Дюшенна. Прогрессирующая мышечная дистрофия Беккера. Клинические рекомендации. М., 2023. [https://cr.minzdrav.gov.ru/recomend/773\\_1](https://cr.minzdrav.gov.ru/recomend/773_1).
2. Прогрессирующая мышечная дистрофия Дюшенна. Прогрессирующая мышечная дистрофия Беккера. Ранняя диагностика и терапия незарегистрированными на территории Российской Федерации лекарственными препаратами. Методические рекомендации для врачей. Педиатрия им. Г.Н. Сперанского. 2023; 102 (6) (Приложение): 1–38. DOI: 10.24110/0031-403X-2023-102-6-217-256.
3. Гремякова Т.А., Артемьева С.Б., Байбарина Е.Н. и др. Консенсус по концепции современной эффективной терапии мышечной дистрофии Дюшенна. Нервно-мышечные болезни 2023; 13 (2): 10–19. DOI: 10.17650/2222 8721 2023 13 2 10 19.
4. Broomfield J, Hill M, Guglieri M, et al. Life Expectancy in Duchenne Muscular Dystrophy: Reproduced Individual Patient Data Meta-analysis. Neurology. 2021 Dec 7; 97 (23): e2304–e2314. DOI: 10.1212/WNL.0000000000012910.
5. Landfeldt E, Thompson R, Sejersen T, et al. Life expectancy at birth in Duchenne muscular dystrophy: a systematic review and meta-analysis. Eur. J. Epidemiol. 2020 Jul; 35 (7): 643–653. DOI: 10.1007/s10654-020-00613-8.
6. Quattrocelli M, Zelikovitch AS, Salamone IM, et al. Mechanisms and Clinical Applications of Glucocorticoid Steroids in Muscular Dystrophy. J. Neuromuscul. Dis. 2021; 8 (1): 39–52. DOI: 10.3233/JND-200556. PMID: 33104035. PMID: PMC7902991.
7. Школа «Важные аспекты применения кортикостероидов при мышечной дистрофии Дюшенна» – Благотворительный фонд «Гордей». <https://dmd-russia.ru/project/shkola-vazhnye-aspekty-primeneniya-kortikosteroidov-pri-myshechnoj-distrofii-dyushenna/> (дата обращения 04.05.2025).
8. Мышечная дистрофия Дюшенна – как не упустить и как лечить? Лечащий врач. 2023; 12: 11. Мышечная дистрофия Дюшенна – как не упустить и как лечить? | partners | «Лечащий врач» – профессиональное медицинское издание для врачей. Научные статьи. <https://www.lvrsch.ru/2036/partners/15438914> (дата обращения 04.05.2025).
9. Marden JR, Freimark J, Yao Z, et al. Real-world outcomes of long-term prednisone and deflazacort use in patients with Duchenne muscular dystrophy: experience at a single, large care center. J. Comp. Eff. Res. 2020; 9 (3): 177–189. DOI: 10.2217/ser-2019-0170.
10. Гремякова Т.А., Савва Н.Н. Мышечная дистрофия Дюшенна – молекулярный патогенез и противовоспалительная фармакотерапия ингибиторами NF- $\kappa$ B. Pallium. 2019; 2: 2–9. <https://palliativemed.sechenov.ru/upload/iblock/ec8/h262lxxlz6oh8jy6fcjpd358dnmcusip.pdf>.
11. Guglieri M, Bushby K, McDermott MP, et al. Effect of Different Corticosteroid Dosing Regimens on Clinical Outcomes in Boys With Duchenne Muscular Dystrophy: A Randomized Clinical Trial. JAMA. 2022 Apr 19; 327 (15): 1456–1468. DOI: 10.1001/jama.2022.4315.
12. Вилтепсо – инструкция по применению. ОХЛП, РУ ЛП-№(006482)-(PI-RU) от 07.08.2024. [https://medi.ru/instrukciya/vilteps0\\_28506/](https://medi.ru/instrukciya/vilteps0_28506/)
13. VYONDYS 53 (golodirsen) | Duchenne Muscular Dystrophy Treatment (дата обращения 21.04.2005).
14. EXONDYS 51 (eteplirsen) | Treatment of Duchenne Muscular Dystrophy (дата обращения 21.04.2025).
15. Exon 45 Skipping: Duchenne Muscular Dystrophy (DMD) | Amondys 45 (дата обращения 21.04.2025).
16. ГРЛС Пер. № ЛП-006596 ТРАНСЛАПНА® РУ ЛП-006596 от 24.11.2020. [dravmedinform.ru/girls/reglp-006596.html](http://dravmedinform.ru/girls/reglp-006596.html).
17. Agamree 40 mg/ml oral suspension, SmPC. Agamree 40 mg/ml oral suspension - Summary of Product Characteristics (SmPC) – (emc) | 15946 (дата обращения 02.05.2025). <https://www.medicines.org.uk/emc/product/15946/smpc#graf>.
18. Heier CR, Damsker JM, Yu Q, et al. VBP15, a novel antiinflammatory and membrane-stabilizer, improves muscular dystrophy without side effects. EMBO Mol. Med. 2013; 5: 1569–1585. DOI: 10.1002/emmm.201302621.
19. Hoffman EP, Schwartz BD, Mengle-Gaw LJ, et al. Vamorolone trial in Duchenne muscular dystrophy shows dose-related improvement of muscle function. Neurology. 2019. Sep 24; 93 (13): e1312–e1323. DOI: 10.1212/WNL.00000000000008168.
20. Smith EC, Conklin LS, Hoffman EP, et al. Efficacy and safety of vamorolone in Duchenne muscular dystrophy: An 18-month interim analysis of a non-randomized open-label extension study. PLoS Med. 2020 Sep 21; 17 (9): e1003222. DOI: 10.1371/journal.pmed.1003222.
21. Mah JK, Clemens PR, Guglieri M, et al. Efficacy and Safety of Vamorolone in Duchenne Muscular Dystrophy. A 30-Month Nonrandomized Controlled Open-Label Extension Trial. JAMA Network Open Neurology. 2022 Jan 4; 5 (1): e2144178. DOI: 10.1001/jamanetworkopen.2021.44178.
22. Ward LM, Rao V, Leinonen M, et al. P.71: Vamorolone Has Less Impact than Daily Prednisone or Deflazacort on Height and Body Mass Index in Patients with Duchenne Muscular Dystrophy (DMD). Neuromuscular Disorders. 2022; 32: S70. DOI: 10.1016/j.nmd.2022.07.119.
23. Гремякова Т.А., Гремякова О.И., Полевиченко Е.В. Миодистрофия Дюшенна: терапия, которая создает будущее. Pallium. 2024; 2: 40–55. УДК 616-056.76: 616-021.1:616.8-056.7.