

Grenzach-Wyhlen, 17.04.2026

Update zur Gentherapie-Forschung: Neue Phase-III-Studie bei Duchenne-Muskeldystrophie

Liebe Mitglieder der Duchenne-Community in Deutschland,

gemäß Ihrer Anfrage, über wichtige Neuigkeiten im Bereich unserer Forschungsaktivitäten für Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) informiert zu werden, freuen wir uns sehr, Ihnen heute mitteilen zu können, dass [Roche](#) eine neue, globale Phase-III-Studie für Delandistrogen moxeparvovec starten wird. Ziel ist es, die Behandlung von gehfähigen Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie auch in Europa und weiteren Ländern zu ermöglichen.

Basierend auf der Phase-III-Studie EMBARK ist Delandistrogen moxeparvovec derzeit in neun Ländern für gehfähige Jungen mit einer bestätigten DMD-Mutation zugelassen. Uns ist bewusst, wie dringend betroffene Familien ein ursächlich wirkendes Medikament zur Behandlung von Duchenne benötigen. Die neue Studie generiert nun zusätzliche placebokontrollierte Daten für eine erneute Einreichung eines Zulassungsantrags bei der EMA und in weiteren Ländern. Unser Ziel ist es, Delandistrogen moxeparvovec für gehfähige Jungen in Europa und auf der ganzen Welt zugänglich zu machen.

Neue Zulassungsstudie

Die Studie baut auf sechs Jahren klinischer Evidenz auf, einschließlich aktueller 3-Jahres-Daten aus der Phase-III-Studie EMBARK und Rückmeldungen der EMA und der Duchenne-Community. Wir arbeiten gewissenhaft am Aufsetzen und dem Start der Studie.

- **Zusammenfassung der Studie:** Doppelblinde Studie zur Wirksamkeit und Sicherheit von Delandistrogen moxeparvovec im Vergleich zu Placebo über 72 Wochen (1,5 Jahre) bei etwa 100 Jungen mit Duchenne im frühen, gehfähigen Stadium. Teilnehmer aus der Placebo-Gruppe werden die Gentherapie nach dem primären Behandlungszeitraum erhalten.
- **Details und Studien-Standorte:** Sobald die Planung weiter fortgeschritten ist, werden wir Sie über weitere Details informieren. Informationen zu Einschlusskriterien, teilnehmenden Zentren und dem Zeitplan für die Rekrutierung werden zudem in den klinischen Studienregistern veröffentlicht.

Partnerschaft mit der Community

Das Design dieser Studie wurde gemeinsam mit Duchenne- Behandler:innen, Patient:innen sowie Patientenvertreter:innen entwickelt. Die Studie spiegelt die Erkenntnisse und

Vorbereitet im April 2026

Freigabe: M-DE-00030502

Erfahrungen mit Delandistrogen moxeparvovec aus sieben klinischen Studien und der Behandlung in der klinischen Routine wider, mit mittlerweile mehr als 1.050 gehfähige Jungen. Wir sind außerordentlich dankbar für die Community-Partnerschaft und alle Organisationen und Familien, die sich für die Arzneimittelentwicklung und -forschung zu Duchenne einsetzen.

Mit freundlichen Grüßen Im Namen des gesamten Duchenne-Teams der Roche Pharma AG



Christina Ankirchner

Patient Partnership Lead Duchenne



Dr. Michael Schöttler

Leitung Neurodegenerative und
Seltene Erkrankungen & Pipeline

Über Delandistrogen moxeparvovec

Delandistrogen moxeparvovec ist eine einmalige Getherapie, die als intravenöse Infusion verabreicht wird. Sie wurde entwickelt, um die Ursache der Erkrankung direkt zu adressieren: Dazu wird Mikro-Dystrophin-Protein gezielt in die Skelett-, Atem- und Herzmuskulatur eingebracht. Delandistrogen moxeparvovec ist bei Patienten mit Deletionen in den Exons 8 und/oder 9 des *DMD*-Gens kontraindiziert.

Bis heute wurden mehr als 1.200 Patienten mit DMD (davon über 1.050 gehfähige Patienten) im Rahmen von klinischen Studien oder in der Regelversorgung behandelt. Delandistrogen moxeparvovec ist derzeit in neun Ländern zugelassen: USA, Japan, Brasilien, Israel, Vereinigte Arabische Emirate, Oman, Bahrain, Katar und Kuwait (es gelten jeweils länderspezifische Kriterien).

Das Programm wird im Rahmen einer Partnerschaft mehrerer Unternehmen geführt: Sarepta Therapeutics ist für die Zulassung und Vermarktung in den USA sowie für die Herstellung verantwortlich. Roche verantwortet die Zulassungsverfahren und die Vermarktung in allen Regionen außerhalb der USA. Chugai Pharmaceutical (ein Mitglied der Roche-Gruppe) übernimmt die Vermarktung in Japan.

Für weitere Informationen oder bei Rückfragen steht Ihnen der medizinische Informationsdienst von Roche unter medinfo.roche.com zur Verfügung.