

CORTICOESTEROIDES EN LA DISTROFIA MUSCULAR DE DUCHENNE:

Guía de estándares de cuidados de DMD Care UK, 31 de marzo de 2025

Apéndice A: Vamorolona: consideraciones clave

La vamorolona es un corticosteroide (CS).

Consulte el resumen de las características del producto (SmPC) antes de recetar vamorolona:

<https://www.medicines.org.uk/emc/product/15946/smpc>

La vamorolona está aprobada en el Reino Unido para personas con DMD a partir de 4 años.

La vamorolona solo se ha estudiado como tratamiento diario.

La vamorolona solo está disponible en formulación líquida.

La vamorolona ha demostrado tener un efecto sobre la función muscular similar al de otros CS.

La vamorolona ha mostrado un mejor perfil de efectos secundarios en comparación con otros CS en lo que respecta al crecimiento y la salud ósea, tras un tratamiento de hasta 30 meses.

La vamorolona ha mostrado efectos secundarios similares con respecto al aumento de peso y la supresión suprarrenal. La vamorolona podría tener un perfil de efectos secundarios más favorable en cuanto a los problemas de comportamiento.

No hay datos sobre la seguridad y eficacia a largo plazo de la vamorolona en la DMD en comparación con otros CS.

Se desconoce el impacto en cuanto a efectos secundarios del cambio de un tratamiento de larga duración con prednisolona o deflazacort a un tratamiento con vamorolona. También se desconoce el posible efecto en cuanto a la ganancia de peso del cambio de regímenes intermitentes de CS a vamorolona diaria o de deflazacort a vamorolona, pero debe comentarse con la familia / con los pacientes y sus cuidadores.

Al igual que otros CS, la vamorolona debe tomarse por la mañana con el estómago lleno.

La dosis recomendada de vamorolona es de 6 mg/kg/día. La dosis diaria recomendada de vamorolona para pacientes con insuficiencia hepática moderada (clase B* de Child-Pugh) es de 2 mg/kg/día (dosis máxima de 80 mg para una persona con un peso corporal de 40 kg o más). Los pacientes con insuficiencia hepática grave (clase C* de Child-Pugh) no deben ser tratados con vamorolona.

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

En el Reino Unido, la dosis máxima de vamorolona es de 240 mg/día (equivalente a 6 ml). Todas las personas con un peso corporal superior a 40 kg pueden recibir un máximo de 240 mg de vamorolona/día.

La dosis diaria puede reducirse a 4 mg/kg/día ó 2 mg/kg/día en función de la tolerancia individual. Los pacientes deben mantenerse en la dosis más alta tolerada dentro del rango de dosis.

Los pacientes que hayan tomado glucocorticoides clásicos anteriormente y cambien a vamorolona, deben cambiar a vamorolona a 6 mg/kg/día para minimizar el riesgo de crisis suprarrenal.

Todas las personas que cambien de prednisolona o deflazacort a vamorolona deben estar atentas a los signos y síntomas de insuficiencia suprarrenal (siga las recomendaciones del Grupo de Trabajo de Endocrino de DMD Care UK: <http://tinyurl.com/k6dz2a5v>).

A diferencia de otros CS, la vamorolona es un antagonista del receptor de mineralocorticoides (como la espironolactona/eplerenona). Por lo tanto, la vamorolona no debe utilizarse para las dosis suplementarias en situaciones de estrés/enfermedad. Mantenga un umbral bajo para solicitar un control de electrolitos en caso de enfermedad aguda, especialmente en personas que ya están tomando otros antagonistas del receptor de mineralocorticoides. los posibles beneficios cardioprotectores de la vamorolona aún se desconocen.

Según la evidencia disponible hasta el momento

La vamorolona podría ser preferible en niños pequeños, que podrían beneficiarse más de su mejor perfil de seguridad en lo que respecta al crecimiento y la salud ósea.

La vamorolona también podría considerarse en personas a las que no se les había recetado previamente otro CS, ya sea por decisión familiar o por preocupaciones relacionadas con efectos secundarios específicos. Sin embargo, es necesario gestionar cuidadosamente las expectativas, dada la actual falta de datos sobre el perfil de efectos secundarios a largo plazo de la vamorolona en comparación con otros CS.

El cambio de prednisolona o deflazacort a vamorolona en niños mayores debe evaluarse de forma individualizada. Los riesgos y beneficios del tratamiento en este grupo de edad se deben explicar al paciente y sus cuidadores, destacando las incertidumbres actuales y el hecho de que la información a este respecto aumentará con el tiempo.

La vamorolona no se ha estudiado en adultos con DMD, aunque algunos adultos podrían recibirla ahora en países donde ya ha sido aprobada. No hay datos publicados sobre el efecto de la vamorolona en adultos ni sobre el cambio a vamorolona después de varios años con otros CS. Se debe considerar cuidadosamente la relación beneficio-riesgo de cambiar a vamorolona en este grupo de pacientes.



DMD Care UK es una iniciativa de colaboración entre el Centro de Investigación de Distrofia Muscular John Walton de la Universidad de Newcastle y Duchenne UK, integrada en la red North Star del Reino Unido. Está financiada por Duchenne UK, Duchenne Research Fund y Joining Jack.

www.dmdcareuk.org