



PROTOCOLO SOBRE ESTEROIDES DE PJ NICHOLOFF

EN ASOCIACIÓN CON



**Parent Project
Muscular
Dystrophy** JOIN THE FIGHT.
END DUCHENNE.

ENDDUCHENNE.ORG

PROTOCOLO DE ESTEROIDES DE PJ NICHOLOFF: RESUMEN

Las personas con distrofia muscular de Duchenne que toman glucocorticoides (como prednisona, prednisolona, deflazacort y vamorolone) corren el riesgo de sufrir supresión suprarrenal. Esto significa que su organismo no puede producir cortisol con normalidad en situaciones de estrés. Todos los pacientes que toman esteroides necesitan un plan de manejo del estrés con esteroides para enfermedades, lesiones o cirugías, y deben seguir un programa de reducción gradual cuidadoso al disminuir o suspender la dosis de esteroides para prevenir posibles complicaciones. Complicaciones potencialmente mortales.

Puntos Clave a Recordar:

- **Riesgo de supresión suprarrenal:** Tomar esteroides en dosis altas durante más de dos semanas puede suprimir la capacidad del cuerpo para producir hormonas naturales del estrés, lo que puede provocar insuficiencia suprarrenal.
- **Reconocimiento de los síntomas de insuficiencia suprarrenal:** Es importante reconocer los signos de insuficiencia suprarrenal durante el tratamiento con esteroides. Sin el tratamiento adecuado, esta afección puede derivar en una emergencia potencialmente mortal denominada crisis suprarrenal.
- **Por qué es importante un plan de dosificación para situaciones de estrés:** Toda persona que toma esteroides a largo plazo necesita un plan de dosificación para situaciones de estrés para aumentar su dosis de esteroides durante períodos de estrés físico, como enfermedades, lesiones o cirugías.
- **Reducción segura de esteroides:** Si ha estado tomando esteroides en dosis altas durante más de dos semanas, la dosis debe reducirse lentamente con el tiempo bajo la supervisión de un profesional médico. Esta reducción gradual de la dosis también se conoce como reducción progresiva de esteroides. **Nunca se deben suspender los esteroides de forma repentina. Continúe durante la reducción o suspensión de esteroides:** Incluso durante la reducción o suspensión de esteroides, es posible que aún necesite dosis de esteroides para el estrés en caso de enfermedad o lesión. Esto será necesario hasta que su médico confirme que su cuerpo vuelve a producir niveles normales de hormonas del estrés.
- **Cambio de medicamentos esteroides:** Al cambiar de un medicamento esteroide a otro, su médico elaborará un plan cuidadoso para prevenir la insuficiencia suprarrenal.

Los puntos clave se basan en 6 conceptos críticos descritos en el Protocolo de Esteroides PJ Nicholoff.

1. Las personas que toman dosis suprafisiológicas diarias de glucocorticoides durante más de dos semanas tienen un alto riesgo de supresión suprarrenal.
2. Los signos y síntomas de la insuficiencia suprarrenal suelen ser inespecíficos y pueden aparecer únicamente cuando la persona está sometida a un mayor estrés fisiológico .
3. Todas las personas que reciben dosis suprafisiológicas crónicas de glucocorticoides deben tener un plan de esteroides para el estrés fisiológico moderado y grave .
4. Se debe implementar una reducción gradual de glucocorticoides al disminuir o suspender los glucocorticoides en personas que han recibido dosis suprafisiológicas de glucocorticoides durante más de 2 semanas.
5. Las personas que están reduciendo gradualmente la dosis de glucocorticoides (vamorolone , deflazacort, prednisona o prednisolona) o que están en dosis fisiológicas (de mantenimiento) de glucocorticoides deben continuar tomando dosis de esteroides para el estrés durante períodos de mayor estrés fisiológico hasta que se haya confirmado la recuperación del eje hipotalámico-hipofisario-adrenal.
6. Al pasar de un régimen de glucocorticoides a otro, se debe tener cuidado para reducir el riesgo de insuficiencia suprarrenal/retirada de las glándulas suprarrenales.

Para obtener más información, visite www.parentprojectmd.org/PJProtocol o escanee aquí.



Acerca de este documento:

Este documento se aplica a personas con distrofia muscular que reciben tratamiento con glucocorticoides (GC), incluyendo distrofia muscular de Duchenne (DMD), distrofia muscular de Becker, mujeres portadoras sintomáticas y miocardiopatía ligada al cromosoma X (abreviadas colectivamente como DBMD). A los efectos de este documento, un GC se define como un esteroide que ejerce acciones fisiológicas a través del receptor de glucocorticoides. La prednisona, la prednisolona, el deflazacort y el vamorolone son los GC que se utilizan actualmente para tratar a las personas con DBMD. Las pautas diarias estándar de GC utilizadas para tratar la DBMD causan supresión suprarrenal en la mayoría de las personas, mientras que las pautas de dosificación intermitente de GC pueden ser menos propensas a causar supresión suprarrenal. Sin embargo, dado que la supresión suprarrenal es potencialmente mortal, se presume que todas las personas con DBMD que toman GC, incluidas las dosis intermitentes, corren el riesgo de sufrir insuficiencia suprarrenal y requieren un enfoque de manejo preventivo.

La supresión suprarrenal es una afección iatrogénica, potencialmente mortal, causada por la exposición prolongada a dosis suprafisiológicas de GC. Las dosis suprafisiológicas de GC son aquellas que superan la producción diaria de cortisol endógeno. El reconocimiento y el manejo adecuados de la supresión suprarrenal pueden prevenir tanto la morbilidad como la mortalidad.

El presente documento tiene como objetivo ayudar a los profesionales de la salud que atienden a personas con DBMD a prevenir las complicaciones de la supresión suprarrenal inducida por GC, entre las que se incluyen la insuficiencia suprarrenal, la crisis suprarrenal y la abstinencia suprarrenal. Para obtener más información sobre los GC y la supresión suprarrenal, visite la página sobre el cuidado con esteroides de Parent Project Muscular Dystrophy (PPMD) en www.parentprojectmd.org/steroids.

Esta actualización de 2025 ofrece un enfoque para el tratamiento de la supresión suprarrenal en personas con DBMD que reciben tanto GC establecidos (prednisona, prednisolona, deflazacort) como nuevos (vamorolone). El vamorolone, aprobado por primera vez para el tratamiento de la DMD en 2023 en los Estados Unidos y la Unión Europea, es un nuevo GC sintético diseñado para conservar los beneficios antiinflamatorios de los GC clásicos (es decir, prednisolona, prednisona y deflazacort) con el objetivo de minimizar los efectos secundarios al disociar la transrepresión (efectos antiinflamatorios) de la transactivación (efectos secundarios relacionados con la transcripción génica). Es importante destacar que el vamorolone sigue causando supresión suprarrenal central a través del mismo mecanismo que los GC clásicos. Sin embargo, a diferencia de los GC clásicos, el vamorolone también es un antagonista del receptor de mineralocorticoides, una propiedad única que puede tener importantes implicaciones para la atención clínica.

Este documento se basa en investigaciones empíricas y opiniones clínicas de expertos (estas últimas procedentes del consorcio internacional **Optimizing Endocrine and Bone Health Management in Duchenne Muscular Dystrophy, (“OPTIMIZE DMD”) Consortium.**) Se

estructura en torno a seis conceptos fundamentales que, en conjunto, orientan las mejores prácticas actuales para el tratamiento de la supresión suprarrenal en personas con DBMD tratadas con GC:

- **Las personas que toman dosis suprafisiológicas diarias de glucocorticoides durante más de dos semanas corren un alto riesgo de sufrir supresión suprarrenal.**
- **Los signos y síntomas de la insuficiencia suprarrenal suelen ser inespecíficos y solo pueden aparecer cuando la persona se encuentra bajo un estrés fisiológico elevado.**
- **o Todas las personas que toman dosis suprafisiológicas crónicas de glucocorticoides deben tener un plan de esteroides para el estrés fisiológico moderado y grave.**
- **Se debe implementar una reducción gradual de los glucocorticoides cuando se disminuyen o se suspenden en personas que han sido tratadas con dosis suprafisiológicas de glucocorticoides durante más de dos semanas.**
- **Las personas que estén reduciendo gradualmente los glucocorticoides (vamorolona, deflazacort, prednisona o prednisolona) o que estén tomando dosis fisiológicas (de mantenimiento) de glucocorticoides deben seguir tomando dosis de esteroides para el estrés durante los periodos de mayor estrés fisiológico hasta que se confirme la recuperación del eje hipotálamo-hipófisis-suprarrenal.**
- **Al cambiar de un régimen de glucocorticoides a otro, se debe tener cuidado para reducir el riesgo de insuficiencia suprarrenal/retirada suprarrenal.**

También se proporcionan ejemplos detallados para el manejo clínico de la supresión suprarrenal. Sin embargo, se reconoce que existe una variabilidad sustancial en la práctica clínica en todo el mundo. En vista de ello, los seis conceptos fundamentales que se proponen en el presente documento pretenden servir de base para el manejo de la supresión suprarrenal. Se proporcionan ejemplos de estrategias clínicas para ayudar a los médicos a aplicar estos principios; no pretenden sustituir las vías de atención suprarrenal locales ya existentes. Si es posible, se recomienda encarecidamente incluir a un endocrinólogo en el equipo de atención del DBMD o como parte del desarrollo de la vía de atención local.

Concepto fundamental #1: Las personas que toman dosis suprafisiológicas diarias de glucocorticoides durante más de dos semanas corren un alto riesgo de sufrir supresión suprarrenal.

- En circunstancias normales, el hipotálamo secreta la hormona liberadora de corticotropina, que estimula la glándula pituitaria para que libere la hormona adrenocorticotrópica (ACTH). La ACTH, a su vez, envía una señal a las glándulas suprarrenales para que produzcan cortisol (un GC endógeno) a aproximadamente 8-10 mg/m² de superficie corporal (BSA) al día en equivalentes de hidrocortisona enteral (también conocida como producción de mantenimiento).
- Durante el estrés fisiológico (enfermedad, traumatismo o cirugía), la secreción de

cortisol aumenta significativamente (hasta triplicar la producción de mantenimiento o más).

- Todos los regímenes diarios estándar de GC utilizados para tratar la DBMD (Tabla 1) pueden suprimir el eje hipotálamo-hipófisis-suprarrenal (HPA), causando supresión suprarrenal iatrogénica, una forma de insuficiencia suprarrenal que puede provocar una morbilidad significativa e incluso la muerte debido a la falta de cortisol en momentos de mayor estrés fisiológico.
- Sin una dosis adecuada de esteroides para el estrés, la supresión suprarrenal puede conducir a una insuficiencia suprarrenal, que tiene el potencial de provocar una crisis suprarrenal potencialmente mortal caracterizada por vómitos, alteración del estado mental, colapso cardiovascular y/o hipoglucemia durante momentos de estrés fisiológico moderado a grave.

Tabla 1. Dosis iniciales de glucocorticoides comúnmente utilizadas para tratar la distrofia muscular de Duchenne y otras distrofinopatías (DBMD)

Glucocorticoid	Dosis de tratamiento de DBMD
Prednisolone	0.75 mg/kg/día (dosis máxima típica 40 mg) ¹
Prednisone	0.75 mg/kg/día (dosis máxima típica 40 mg) ¹
Deflazacort	0.9 mg/kg/día (dosis máxima típica 36 mg) ¹
Vamorolone	6 mg/kg/día ² (dosis máxima 300 mg en EE. UU., 240 mg en la UE)

¹ La dosis máxima no se especifica en la información de prescripción y puede variar según cada caso a discreción del médico responsable del tratamiento.

² La dosis recomendada para la insuficiencia hepática moderada es de 2 mg/kg/día (dosis máxima de 100 mg/día); la insuficiencia hepática moderada aumenta la exposición al vamorolone. No hay datos que orienten la dosificación de vamorolone en personas con insuficiencia hepática grave.

Abreviaturas: DBMD, distrofia muscular de Duchenne y Becker y otras distrofinopatías; UE, Unión Europea; máx., máximo; EE. UU., Estados Unidos de América.

Concepto crítico #2: Los signos y síntomas de la insuficiencia suprarrenal suelen ser inespecíficos y solo pueden aparecer cuando la persona se encuentra bajo un estrés fisiológico elevado.

- Todas las personas deben recibir información sobre los signos y síntomas de la insuficiencia suprarrenal ANTES o EN EL MOMENTO de iniciar el tratamiento con GC, **tabla 2**. Esta información debe reforzarse anualmente, como mínimo, mientras continúe el tratamiento con GC.
- Todas las personas tratadas con GC deben recibir información para que nunca suspendan o interrumpan las dosis de GC, ya que esto podría precipitar los síntomas de insuficiencia suprarrenal y una crisis suprarrenal. Una dosis omitida puede administrarse en cualquier momento del día en que estaba programada.

- La abstinencia suprarrenal es una entidad diferente de la insuficiencia suprarrenal. Los síntomas de la abstinencia suprarrenal pueden parecerse a los de la insuficiencia suprarrenal, aunque no son potencialmente mortales. Los síntomas de la abstinencia suprarrenal pueden aparecer durante la reducción gradual de GC, incluso con dosis altas de GC, o al cambiar de un GC o régimen de GC a otro.

Tabla 2: Signos y síntomas de la insuficiencia suprarrenal inducida por glucocorticoides (GC)

Síntomas de la insuficiencia suprarrenal inducida por GC ¹	Signos de insuficiencia suprarrenal inducida por GC ¹
Anorexia	Hipotensión
Náuseas/vómitos	Hipotensión
Malestar general	Taquicardia o bradicardia
Debilidad o fatiga	Fiebre ²
Dolor de cabeza	
Dolor abdominal	
Mialgia/artralgia	
Síntomas psiquiátricos (confusión, delirio, desorientación)	
Pérdida de habilidades motoras (que no se ajusta a la progresión natural)	

¹ Los síntomas de la abstinencia suprarrenal pueden parecerse a los síntomas de la insuficiencia suprarrenal. Tenga en cuenta que no siempre se presentan todos los síntomas y/o signos. La hipotensión y la hipoglucemia no suelen producirse con la abstinencia suprarrenal.

² La fiebre es un signo poco común de insuficiencia suprarrenal. Siempre se debe investigar y tratar la causa de la fiebre, según corresponda.

Concepto crítico #3: Todas las personas que toman dosis suprafisiológicas crónicas de glucocorticoides deben tener un plan de esteroides para el estrés fisiológico moderado y grave.

- Las dosis suprafisiológicas de GC son aquellas que superan la producción diaria de cortisol endógeno (mantenimiento), y solo aquellas con propiedades agonistas del receptor mineralocorticoide y de acción más prolongada pueden utilizarse para cubrir el estrés, **tabla 3**.
- Se deben administrar GC adicionales (denominadas dosis de esteroides para el estrés) durante los periodos de mayor estrés fisiológico, como enfermedades, accidentes/lesiones o cirugías, para prevenir consecuencias potencialmente mortales. En la **tabla 4** se proporcionan ejemplos de estrés fisiológico moderado y grave. En las **tablas 5 y 6** se proporcionan ejemplos de regímenes de esteroides para el estrés.

Tabla 3. Dosis de mantenimiento y consideraciones sobre la dosificación en situaciones de estrés para los glucocorticoides en la distrofia muscular de Duchenne y otras distrofinopatías

Glucocorticoide	Utilizado para el tratamiento de la DBMD	Dosis de mantenimiento ¹	Vida media (horas) ²	Actividad del receptor de glucocorticoides	Actividad del receptor de mineralocorticoides	Adecuado para cubrir situaciones de estrés ³
Hidrocortisona	NO	8-10 mg/m ² /día	3	Agonista	Agonista	SÍ
Prednisona	SÍ	2-3 mg/m ² /día	6.2	Agonista	Agonista	SÍ
Prednisolona	SÍ	2-3 mg/m ² /día	6.2	Agonista	Agonista	SÍ
Deflazacort	SÍ	2.6 mg/m ² /día ⁴	1.1 to 1.9	Agonista	Agonista débil	Desconocido ⁵
Vamorolone	SÍ	Desconocido	2	Agonista	Antagonista	NO

¹ Expresado en mg/m² de superficie corporal (SC)/día. Existen múltiples ecuaciones para calcular la SC, se recomienda utilizar la ecuación utilizada en el registro electrónico de salud o en la práctica local. La SC también se puede estimar a partir del peso: (peso (kg) × 4) + 7/(peso (kg) + 90)

² Clínicamente, se considera que un fármaco se elimina del organismo tras 4-5 vidas medias

³ Véanse las tablas 5 y 6 para obtener más detalles sobre la dosificación en situaciones de estrés

⁴ Las estimaciones se basan en factores de conversión aceptados históricamente y deben considerarse solo como una guía. No se recomienda el uso de deflazacort para el reemplazo de mantenimiento

⁵ No hay datos suficientes para determinar la dosis o la frecuencia en situaciones de estrés. Usar con precaución

Abreviaturas: DBMD, distrofia muscular de Duchenne y Becker y otras distrofinopatías

Tabla 4: Indicaciones y ejemplos de administración de dosis de esteroides para situaciones de estrés moderado y grave, además del régimen regular de glucocorticoides.

Situación	Recomendaciones de dosis de esteroides para situaciones de estrés ^{1,2} Consulte las tablas 5 y 6 para conocer las dosis.	Duración de la dosis para situaciones de estrés
Enfermedad leve: • Ejemplos: resfriado leve/secreción nasal sin fiebre; se siente lo suficientemente bien como para asistir a la escuela, al trabajo u otras actividades.	Sin cambios	No aplicable
Lesión leve: • Ejemplos: fractura de dedo sin rotura de la piel, abrasiones, contusiones; un dolor mínimo o inexistente es un buen indicador de la necesidad de una dosis de estrés	Sin cambios	No aplicable
Enfermedad moderada: • Enfermedades que impedirían que un niño fuera a la escuela o que un adulto fuera al trabajo. • Algunos ejemplos son fiebre, resfriado intenso con fatiga, diarrea leve, vómitos leves (y capacidad para retener la medicación enteral).	Hidrocortisona cada 6-8 horas por vía enteral. O Prednisona/prednisolona cada 12 horas por vía enteral.	Hasta que la enfermedad se resuelva + 24 horas.
Lesión moderada: • Ejemplo: fractura de brazo o pierna o fractura vertebral aguda sintomática que no rompe la piel.	Hidrocortisona cada 6-8 horas por vía enteral. O Prednisona/prednisolona cada 12 horas por vía enteral.	Hasta que el dolor agudo se haya resuelto y la lesión haya sido tratada.

<p>Enfermedad grave:</p> <ul style="list-style-type: none"> Vómitos persistentes e incapacidad para retener la medicación con esteroides para el estrés. Diarrea grave que podría afectar negativamente a la absorción Disminución del nivel de conciencia o dificultad para despertarse 	<p>Hidrocortisona intramuscular y Acudir al servicio de urgencias y/o llamar a los servicios de emergencia</p>	<p>Variable, individualizado según el caso</p>
<p>Lesión o traumatismo grave:</p> <ul style="list-style-type: none"> Ejemplos: accidente de tráfico, fractura con rotura de la piel, cualquier lesión que provoque pérdida de conciencia 	<p>Hidrocortisona intramuscular y Acudir al servicio de urgencias y/o llamar a los servicios de emergencia</p>	<p>Variable, individualizado según el caso</p>
<p>Cirugía menor:</p> <ul style="list-style-type: none"> Ejemplos: procedimientos con anestesia local o sedación leve a moderada que no provocan pérdida de conciencia 	<p>Considerar: Hidrocortisona cada 6-8 horas por vía enteral o Prednisona/prednisolona cada 12 horas por vía enteral</p> <p>La decisión de administrar una dosis de estrés se basa en la complejidad del procedimiento y el historial del paciente.</p>	<p>24 horas después del procedimiento</p>
<p>Cirugía mayor:</p> <ul style="list-style-type: none"> Procedimientos bajo anestesia general 	<p>Administrar hidrocortisona por vía intravenosa antes de la inducción de la anestesia general. y Proporcionar un plan de esteroides de estrés al equipo de anestesia.</p> <p>Se requiere la administración continua de GC por vía intravenosa si el paciente no puede reanudar el régimen de GC enteral después del procedimiento.</p>	<p>Variable, individualizado según el curso.</p>
<p>Infusiones de bisfosfonatos:</p> <ul style="list-style-type: none"> Recomendadas para los signos/síntomas de la respuesta de fase aguda (APR; fiebre, náuseas, mialgia, dolor óseo). Considerar la administración empírica de dosis de estrés para las primeras infusiones, en las que el riesgo de APR es mayor. La necesidad de una dosis empírica para el estrés en las infusiones posteriores puede determinarse en función de la respuesta inicial; siempre debe administrarse si se desarrollan síntomas de APR. 	<p>Hidrocortisona cada 6-8 horas por vía enteral o Prednisona/prednisolona cada 12 horas por vía enteral</p>	<p>Hasta que los signos y síntomas de APR hayan desaparecido + 24 horas</p>

¹ Se administra hidrocortisona además de la dosis habitual de deflazacort o vamorolona para el tratamiento de la DBMD. Las dosis de prednisona/prednisolona para el tratamiento de la DBMD suelen superar las necesarias para la dosis de esteroides de estrés. En estos casos, la dosis habitual de prednisona/prednisolona para la DBMD puede dividirse en dos dosis iguales administradas con 12 horas de diferencia. No hay datos suficientes para determinar la dosis y la frecuencia óptimas de deflazacort para la dosificación de estrés

² Las prácticas específicas de cada institución deben informarse en colaboración con un experto local (endocrinólogo), si está disponible.
Abreviaturas: IM, intramuscular

- Todas las personas deben tener un plan de esteroides para el estrés para uso doméstico y hospitalario ANTES o EN EL MOMENTO de comenzar con GC para el tratamiento de la DBMD. Esto incluye un plan para el estrés fisiológico moderado (**Tabla 5**) y grave (**Tabla 6**).
- La hidrocortisona, la prednisona y la prednisolona son aceptables para la dosificación de estrés porque son agonistas tanto de los receptores de glucocorticoides como de los mineralocorticoides, **Tabla 3**.
- La hidrocortisona se administra cada 6-8 horas cuando se utiliza para la dosificación en situaciones de estrés moderado. Se administra además de la dosis habitual de GC para el tratamiento de la DBMD.
- La prednisona y la prednisolona son GC más potentes y de acción más prolongada que se administran cada 12 horas cuando se utilizan para la dosificación en situaciones de estrés moderado. En la mayoría de los casos, las dosis de prednisona/prednisolona para el tratamiento de la DBMD superan las dosis necesarias para la dosificación en situaciones de estrés. En estos casos, la dosis habitual de prednisona/prednisolona en el DBMD puede dividirse en dos dosis iguales administradas con 12 horas de diferencia.
- Se desconoce si el deflazacort es adecuado para la dosificación de estrés. El deflazacort tiene una vida media más corta que la hidrocortisona y la prednisona/prednisolona. Se desconoce la dosis y la frecuencia óptimas para la dosificación de estrés con deflazacort.
- **El vamorolón no se puede utilizar para la dosificación de estrés** porque es un antagonista del receptor de mineralocorticoides y, hipotéticamente, podría exacerbar el riesgo de hipotensión durante una crisis suprarrenal.
- Se requiere hidrocortisona intramuscular (IM) o intravenosa (IV) para el tratamiento del estrés fisiológico grave y en casos de vómitos persistentes o diarrea grave, **Tabla 6**.
- Se debe recomendar a las personas que usen un brazalete o collar de identificación médica que indique que son dependientes de esteroides. También deben llevar consigo una tarjeta física o electrónica que describa su plan de esteroides para el estrés.
- La insuficiencia suprarrenal debe indicarse en el expediente médico electrónico de la persona y debe haber una documentación clara del plan de esteroides para el estrés que sirva de guía a cualquier médico o equipo de atención médica.

Dosis de esteroides para estrés moderado:

- Se debe administrar hidrocortisona o prednisona/prednisolona por vía enteral durante los periodos de estrés fisiológico moderado, tal y como se indica en la **Tabla 4**.
- Las dosis enterales de hidrocortisona o prednisona/prednisolona para el estrés pueden basarse en la superficie corporal (m²) o en el peso medido (kg). Se prefiere la superficie corporal, ya que es más precisa, pero no siempre es práctica. En la **tabla 5** se indican las dosis recomendadas de esteroides para el estrés según la superficie corporal y el peso.
- Si las dosis de tratamiento con prednisona/prednisolona para el DBMD superan las

necesarias para la dosificación de esteroides para el estrés (**tabla 5**), la dosis habitual de prednisona/prednisolona para el DBMD se puede dividir en dos dosis iguales administradas con 12 horas de diferencia.

Tabla 5: Dosis moderadas de esteroides para el estrés según la superficie corporal (BSA)² o el peso (enteral, por vía oral o sonda gastrointestinal)¹

Dosificación basada en la BSA		
	Hidrocortisona	Prednisona o prednisolona ²
Todas las personas	30-50 mg/m ² /día divididos cada 6-8 horas Dosis máxima: 15 mg cada 6-8 horas	8-12 mg/m ² /día divididos cada 12 horas Dosis máxima: 7,5 mg cada 12 horas ³
Dosis basada en el peso		
Peso corporal	Hidrocortisona	Prednisona o prednisolona ²
10 a 25 kg	5 mg cada 6-8 horas	2.5 mg cada 12 horas
26 a 50 kg	10 mg cada 6-8 horas	5 mg cada 12 horas
>50 kg	15 mg cada 6-8 horas	7.5 mg cada 12 horas

¹ La elección entre hidrocortisona, prednisona o prednisolona depende del proveedor y de las preferencias del paciente/familia. Si se necesita una preparación líquida, consulte con la farmacia local para confirmar la estabilidad de almacenamiento y aconseje al individuo/familia sobre la frecuencia de reposición necesaria.

² Siempre que las dosis de tratamiento con prednisona/prednisolona para la DBMD superen las necesarias para la dosificación de esteroides para el estrés, la dosis habitual de prednisona/prednisolona para la DBMD puede dividirse simplemente en dos dosis iguales administradas con 12 horas de diferencia.

³ La dosis máxima solo es aplicable cuando se administra además de la dosis habitual de esteroides para la DBMD.

Dosis de esteroides para estrés grave:

- Se requiere hidrocortisona intramuscular (IM) o intravenosa (IV) durante los periodos de estrés fisiológico grave, tal y como se describe en la **tabla 4**.
- La dosis inicial estándar para estrés grave es de 100 mg/m² de BSA (máximo 100 mg), **tabla 6**. Si se desconoce la BSA, es adecuado administrar la dosis basada en la edad.
- Puede ser necesario administrar hidrocortisona IV de forma continua en dosis de 50-100 mg/m²/día divididas cada 4-6 horas en caso de estrés fisiológico continuo o incapacidad para tolerar la dosis enteral de GC.
- Se puede considerar la administración continua de hidrocortisona en lugar de bolos intermitentes, según la práctica institucional, **Tabla 7**.
- Si el paciente se encuentra en estado crítico, se debe evaluar la glucosa en sangre y la presión arterial. La hipoglucemia y/o la hipotensión deben corregirse según las intervenciones clínicas estándar.

Tabla 6: Dosis de esteroides para estrés grave según la superficie corporal (BSA) o la edad¹

Dosis basada en la BSA	
	Idrocortisone IM o IV
Todas las personas	100 mg/m ² (dosis máxima de 100 mg)
Dosis basada en la edad	
Edad	Idrocortisone IM o IV
< 1 año	25 mg
1-5 años	50 mg
≥ 6 años	100 mg

¹ Dosis inicial proporcionada. Puede ser necesario administrar hidrocortisona IV de forma continua en dosis de 50-100 mg/m²/día divididas cada 4-6 horas en caso de estrés fisiológico continuo o intolerancia a los GC enterales. Abreviaturas: IM, intramuscular; IV, intravenoso

Tabla 7: Velocidades de infusión continua de hidrocortisona IV basadas en el peso medido como alternativa a las dosis intermitentes para el estrés grave

Peso	Dosis total en 24 horas	Velocidad de infusión de hidrocortisona ¹
≤ 10 kg	24 mg	1 ml/h
10.1 a 20 kg	48 mg	2 ml/h
20.1 a 40 kg	96 mg	4 ml/h
40.1 a 70 kg	144 mg	6 ml/h
Más de 70 kg	192 mg	8 ml/h

¹ Infusión de hidrocortisona para uso intravenoso preparada como 50 mg de hidrocortisona en 50 ml de cloruro de sodio al 0,9 % (1 mg/ml) Abreviaturas: IM, intramuscular; IV, intravenoso

Concepto crítico # 4: Se debe aplicar una reducción gradual de los glucocorticoides cuando se disminuya o suspenda su administración en personas que hayan sido tratadas con dosis suprafisiológicas durante más de dos semanas.

- La reducción rápida o la suspensión brusca de los GC puede provocar abstinencia suprarrenal, insuficiencia suprarrenal o crisis suprarrenal.
- Una reducción gradual de la dosis de GC antes de la suspensión puede reducir el riesgo de insuficiencia suprarrenal, aunque no lo previene por completo.
- Se debe volver a educar a las personas sobre los signos y síntomas de la insuficiencia suprarrenal, incluidos el síndrome de abstinencia suprarrenal y la crisis suprarrenal, antes de comenzar una reducción gradual de GC.
- Las dosis de esteroides para el estrés deben seguir administrándose durante los periodos de mayor estrés fisiológico durante la reducción gradual de los GC y hasta que se haya confirmado la recuperación del eje HPA mediante pruebas de estimulación con cortisol matutino o ACTH, **tabla 8, paso 3.**

Enfoque de la reducción gradual de glucocorticoides

No hay pruebas suficientes que respalden un enfoque específico para la reducción gradual de GC. Es posible que existan protocolos de reducción gradual de GC específicos de la institución u otro organismo regulador, que deben consultarse, si están disponibles, para cumplir con las regulaciones locales y la práctica clínica.

- A falta de directrices locales, en la Tabla 8 se ofrece un ejemplo de protocolo de reducción gradual de GC.
 - En este ejemplo, los GC se reducen primero desde el tratamiento hasta dosis de “mantenimiento triple” (es decir, tres veces la dosis de mantenimiento), tal y como se describe en la **Tabla 8 y la Tabla 9**.
 - Las GC se reducen gradualmente hasta alcanzar el triple de la dosis de mantenimiento para proporcionar cobertura con esteroides contra el estrés, a la espera de la intervención de un endocrinólogo que pueda gestionar el proceso de reducción gradual, si está disponible.
 - Por lo general, la reducción gradual hasta alcanzar el “triple de la dosis de mantenimiento” la gestiona el especialista neuromuscular que trata al paciente (con el asesoramiento del endocrinólogo, cuando sea necesario) y puede ser necesario individualizarla en función del caso clínico específico.
 - Es posible que la reducción deba realizarse más rápidamente en personas con síntomas intolerables de toxicidad por GC, como alteraciones del estado de ánimo, aumento de la presión intraocular o aumento de peso excesivo.
 - o Es posible que la reducción deba realizarse más lentamente si la debilidad muscular u otros síntomas de DBMD empeoran a medida que se reducen las dosis de GC, o si la persona no tolera la reducción de otra manera.
 - Las personas que se sientan mal durante la reducción gradual de GC deben volver a la última dosis y frecuencia con la que se sentían bien, mantener esta dosis hasta que se sientan bien de nuevo y luego reanudar la reducción a un ritmo más lento.
 - Una vez que se ha reducido la dosis de GC a la “triple dosis de mantenimiento”, se debe consultar a un endocrinólogo, si es posible, para que oriente el tratamiento posterior, incluida la reducción a una dosis de “mantenimiento” (tablas 9 y 10) y la evaluación de la recuperación del eje HPA.
 - Si no se dispone de un endocrinólogo, en el paso 2 de la tabla 8 se ofrece un posible enfoque para reducir la dosis de “triple mantenimiento” a “mantenimiento”.
 - Existe una variabilidad significativa en la práctica clínica para evaluar el eje HPA.
 - Los enfoques aceptables incluyen evaluar el cortisol sanguíneo matutino O realizar una prueba de estimulación con ACTH después de suspender todos los GC durante al menos 24 horas, **paso 3 de la tabla 8**. No hay pruebas suficientes para respaldar un enfoque sobre otro.
- El plan de dosis de esteroides para el estrés debe continuar hasta que se confirme la recuperación del eje HPA.**

Tabla 8: Ejemplo de enfoque para reducir gradualmente los glucocorticoides (GC) y evaluar la recuperación del eje hipotálamo-hipófisis-suprarrenal (HPA)*.

*Consulte a la institución local o al endocrinólogo para determinar si existe una guía institucional aprobada para la reducción gradual de los GC

Paso 1: Reducir gradualmente los GC desde la dosis de tratamiento DBMD hasta la dosis de “mantenimiento triple”¹.	
<ul style="list-style-type: none"> • Normalmente supervisado por el proveedor neuromuscular que lo trata. • Objetivos: <ul style="list-style-type: none"> • Evitar los posibles efectos rebote perjudiciales de la interrupción brusca de los GC en la función muscular. • Evitar los síntomas de abstinencia suprarrenal². • Se requieren esteroides en dosis de estrés durante los periodos de mayor estrés fisiológico³. • Consideraciones adicionales: <ul style="list-style-type: none"> • Es posible que algunos pacientes requieran una reducción más rápida en función de la gravedad de los síntomas iniciales de toxicidad por GC. • Considere la posibilidad de ralentizar la reducción si se presentan síntomas de abstinencia suprarrenal o empeoramiento de la función muscular. 	Posible enfoque para reducir los GC desde el tratamiento hasta el triple mantenimiento
	<p>Prednisona/prednisolona</p> <ul style="list-style-type: none"> • Reducir la dosis en 2,5-5 mg cada 1-2 semanas hasta alcanzar la dosis de «mantenimiento triple» (Tabla 9).
	<p>Deflazacort</p> <ul style="list-style-type: none"> • Reducir la dosis en 3-6 mg cada 1-2 semanas hasta alcanzar la dosis de “mantenimiento triple” basada en el peso (Tabla 9).
	<p>Vamorolona</p> <p>Según las preferencias del paciente/cuidador y del profesional sanitario:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Comience con dosis de mantenimiento de hidrocortisona, prednisona o prednisolona (Tabla 10 o 11) además de vamorolona, Y LUEGO • Reduzca la dosis de vamorolona en 1 mg/kg/día cada 1-2 semanas hasta suspenderla por completo. <p>o</p> <ul style="list-style-type: none"> • Si es necesario suspender el vamorolone lo antes posible, cambie directamente del vamorolone a una dosis de mantenimiento triple basada en el peso de un GC clásico (Tabla 9).

Paso 2: Reducción gradual de los GC de la dosis de «mantenimiento triple» a la dosis de «mantenimiento»¹	
<ul style="list-style-type: none"> • Normalmente supervisado por un endocrinólogo, si está disponible • Objetivos: • Evitar los síntomas de abstinencia suprarrenal² • o Permitir la recuperación de la producción endógena de cortisol • Se requieren esteroides en dosis de estrés durante los periodos de mayor estrés fisiológico³ • Consideraciones adicionales: • Es posible que algunos pacientes requieran reducciones más rápidas en función de la gravedad de los síntomas iniciales de toxicidad por GC • Considere la posibilidad de ralentizar la reducción si se presentan síntomas de abstinencia suprarrenal o empeoramiento de la función muscular 	<p>Posible enfoque para reducir gradualmente los GC de dosis de triple mantenimiento a dosis de mantenimiento</p> <p>Prednisona o prednisolona</p> <ul style="list-style-type: none"> • Reducir la prednisona o la prednisolona en 1-5 mg/día, cada 4-7 días, hasta alcanzar las dosis de mantenimiento (Tabla 10 o 11). La velocidad de la reducción gradual, la magnitud y la frecuencia de la reducción de la dosis se guían por la duración de la exposición previa a los GC: <ul style="list-style-type: none"> • Duración del uso de GC < 2 semanas: no es necesaria una reducción gradual. • Duración del uso de GC de 2 semanas a 3 meses: reducción gradual durante 1-2 semanas. • Duración del uso de GC > 6 meses: reducir gradualmente durante 2-4 semanas
	<p>Deflazacort</p> <ul style="list-style-type: none"> • Cambiar a una «dosis triple de mantenimiento» de prednisona, prednisolona o hidrocortisona (Tabla 9) • Prednisona/prednisolona: disminuir la dosis en 1-5 mg/día, cada 4-7 días hasta alcanzar las dosis de mantenimiento (Tabla 10 u 11) • Hidrocortisona: disminuir la dosis en 2.5-5 mg/día, cada 4-7 días hasta alcanzar las dosis de mantenimiento (Tabla 10 u 11) • La velocidad de reducción gradual, la magnitud y la frecuencia de la reducción de la dosis se guían por la duración de la exposición previa a GC: <ul style="list-style-type: none"> • Duración del uso de GC < 2 semanas: no se necesita reducción gradual. • Duración del uso de GC de 2 semanas a 3 meses: reducción gradual durante 1-2 semanas. • Duración del uso de GC de 3-6 meses: reducción gradual durante 2 semanas. • Duración del uso de GC > 6 meses: reducción gradual durante 2-4 semanas.
	<p>Vamorolone</p> <ul style="list-style-type: none"> • Como se describe en el paso 1 anterior

Paso 3: Pruebas para evaluar la recuperación del eje hipotálamo-hipófisis-suprarrenal (HPA)	
<ul style="list-style-type: none"> • Normalmente supervisadas por un endocrinólogo, si está disponible • La evaluación de la recuperación del eje HPA se realiza normalmente entre 1 y 3 meses después de la transición a las dosis de mantenimiento de GC,⁴ ya sea con una prueba de estimulación con cortisol en sangre matutina o con una prueba de estimulación con ACTH en dosis baja o estándar⁵ <ul style="list-style-type: none"> • Las evaluaciones deben realizarse al menos 24 horas después de suspender la dosis de GC. • Las dosis de mantenimiento deben reanudarse después de la prueba y continuar hasta que se revisen y comuniquen los resultados. 	<p>Guía para la interpretación de la prueba de cortisol matutino (8:00-9:00 a. m.) o de estimulación con ACTH.</p> <p>Interpretación del cortisol matutino a las 8:00 a. m.⁶</p> <ul style="list-style-type: none"> • <150 nmol/L (5,0 µg/dL) o umbral inferior para el análisis local: es probable que el eje HPA siga suprimido. <ul style="list-style-type: none"> • Continuar o considerar reiniciar el mantenimiento con GC • Continuar con el plan de esteroides para el estrés • Repetir la prueba en 1-6 meses • Entre 150 nmol/L (5,0 µg/dL) y 300 nmol/L (10,0 µg/dL) o umbral superior para el análisis local: es probable que el eje HPA se haya recuperado parcialmente <ul style="list-style-type: none"> • Continuar o considerar reiniciar el mantenimiento con GC si hay síntomas • Continuar con el plan de esteroides para el estrés. • Repetir la prueba en 1-6 meses o proceder a la prueba de estimulación con ACTH. • ≥ 300 nmol/L (10 µg/dL) o umbral superior para el análisis local: es probable que el eje HPA se haya recuperado. <ul style="list-style-type: none"> • Suspender o no reiniciar el mantenimiento con GC. • En la mayoría de los casos, es seguro suspender los esteroides para el estrés. Considerar la posibilidad de realizar una prueba de estimulación con ACTH o continuar con las dosis de esteroides para el estrés durante 6-12 meses, según el criterio clínico.
	<p>Interpretación de la respuesta a los 30 o 60 minutos a la prueba de estimulación con ACTH en dosis bajas o estándar⁶</p> <ul style="list-style-type: none"> • < 400 nmol/L (14,5 mcg/dL) o umbral superior para el análisis local: es probable que el eje HPA no se haya recuperado por completo <ul style="list-style-type: none"> • Continuar o considerar la posibilidad de reanudar la dosis de GC de mantenimiento • Continuar con los esteroides de estrés • Repetir la prueba en 1-6 meses • ≥ 400 nmol/L (14,5 mcg/dL) o umbral del centro local: es probable que el eje HPA se haya recuperado por completo. <ul style="list-style-type: none"> • Es seguro suspender los GC de mantenimiento. • Ya no se necesitan esteroides para el estrés.

¹ Las dosis triples de mantenimiento se indican en la tabla 9, y las dosis de mantenimiento se indican en las tablas 10 y 11.

² Los síntomas de la abstinencia suprarrenal pueden incluir fatiga, debilidad, anorexia, náuseas, dolor de cabeza, Tabla 2

³ Indicaciones para la dosificación de estrés en la Tabla 4. Las dosis estándar de estrés son de 30-50 mg/m²/día (estrés moderado) y 100 mg/m²/día (estrés grave) de equivalentes de hidrocortisona, Tablas 5 y 6

⁴ Algunos endocrinólogos proporcionarán instrucciones para una reducción adicional de GC por debajo de los niveles de mantenimiento de GC que se debe realizar antes de evaluar el eje HPA

⁵ El debate sobre la prueba de estimulación con ACTH estándar frente a la de dosis baja excede el alcance de este documento; la elección de la prueba debe realizarse según la práctica local

⁶ Los valores exactos de cortisol dependen del ensayo local utilizado; consulte con su endocrinólogo o patólogo de laboratorio local

Abreviaturas: GC, glucocorticoide; HPA, hipotálamo-hipófisis-suprarrenal

Tabla 9: Dosis de «mantenimiento triple» sugeridas en función del peso que deben utilizarse al reducir los glucocorticoides

Peso	Prednisona o prednisolona ¹	Deflazacort ¹	Hidrocortisona ²	Vamorolona ³
10-25 kg	5 mg por vía enteral al día	6 mg por vía enteral al día	20 mg por vía enteral al día	No aplicable
26-50 kg	10 mg por vía enteral al día	12 mg por vía enteral al día	40 mg por vía enteral al día	
51-90 kg	15 mg por vía enteral al día	18 mg por vía enteral al día	60 mg por vía enteral al día	

¹ dividida en 2 dosis al día

² dividida en 3-4 dosis al día

³ véase la tabla 8 para obtener orientación sobre la reducción gradual de vamorolona

Tabla 10: Dosis de mantenimiento de glucocorticoides por superficie corporal

Glucocorticoide	Fisiológico (mantenimiento)
Hidrocortisona ¹	8-10 mg/m ² /día
Prednisolona ²	2-3 mg/m ² /día
Prednisona ²	2-3 mg/m ² /día
Deflazacort ³	2.6 mg/m ² /día
Vamorolona	Desconocido

¹ La dosis total de hidrocortisona se divide normalmente en 3 dosis al día; también es aceptable dividirla en 2 dosis al día.

² La dosis total de prednisona/prednisolona se divide normalmente en 2 dosis al día; también es aceptable administrarla en una sola dosis diaria.

³ La deflazacort no se utiliza normalmente solo para el reemplazo de mantenimiento. Se desconoce la frecuencia de dosificación de mantenimiento.

Tabla 11: Dosis de glucocorticoides de mantenimiento según el peso corporal

Peso corporal	Hidrocortisona ¹	Prednisona/prednisolona ²
18-25.9 kg (BSA 0.74-0.92 m ²)	Total 7.5 mg/día, dividido en 2.5 mg - 2.5 mg - 2.5 mg	Total 2 mg/día, divididos en 1 mg - 1 mg
26-38.9 kg (BSA 0.95-1.2 m ²)	Total 10 mg/día, divididos en 5 mg - 2.5 mg - 2.5 mg	Total 2 mg/día, divididos en 1 mg - 1 mg
39-53.9 kg (BSA 1.3-1.5 m ²)	Total 12.5 mg/día, divididos en 5 mg - 5 mg - 2.5 mg	Total 3 mg/día, divididos en 2 mg - 1 mg
54-69.9 kg (BSA 1.6-1.8 m ²)	Total 15 mg/día, divididos en 5 mg - 5 mg - 5 mg	Total 4 mg/día, divididos en 2 mg - 2 mg
>70 kg (BSA >1.9 m ²)	Total 17.5 mg/día, divididos en 7.5 mg - 5 mg - 5 mg	Total 4 mg/día, divididos en 2 mg - 2 mg

¹ La dosis total de hidrocortisona se divide normalmente en 3 dosis al día; también es aceptable dividirla en 2 dosis al día.

² La dosis total de prednisona/prednisolona se divide normalmente en 2 dosis al día; también es aceptable administrarla en una sola dosis diaria.

Concepto crítico #5: Las personas que estén reduciendo gradualmente los glucocorticoides (vamorolona, deflazacort, prednisona o prednisolona) o que estén tomando dosis fisiológicas (de mantenimiento) de glucocorticoides deben seguir tomando dosis de esteroides para el estrés durante los periodos de mayor estrés fisiológico hasta que se confirme la recuperación del eje hipotálamo-hipófisis-suprarrenal.

- Las personas deben disponer de un suministro de hidrocortisona, prednisona o prednisolona por vía enteral e hidrocortisona intramuscular, y seguir planes de esteroides para el estrés fisiológico moderado y grave hasta que se confirme la recuperación del eje HPA.
- La recuperación del eje HPA puede tardar entre 6 y 12 meses o más.

Concepto crítico # 6: Al pasar de un régimen de glucocorticoides a otro, se debe tener cuidado para reducir el riesgo de insuficiencia suprarrenal/abstinencia suprarrenal.

- Las personas deben pasar directamente a la dosis estándar recomendada para el tratamiento de la DBMD (Tabla 1), si es posible, al cambiar de un GC a otro. A continuación, se puede reducir la dosis si se desea una dosis más baja.
- Las personas con DBMD y sus cuidadores deben recibir nueva formación sobre los signos y síntomas de la insuficiencia suprarrenal, incluida la abstinencia suprarrenal y la crisis suprarrenal, antes de cambiar de régimen de GC.
 - Si durante la transición se producen signos de abstinencia suprarrenal o insuficiencia suprarrenal, las personas deben ponerse en contacto con el médico responsable del tratamiento para discutir el aumento de la dosis de GC o la adición de esteroides para el estrés, según se indique.
- El riesgo de supresión suprarrenal en los regímenes de tratamiento intermitente con GC para la DBMD (por ejemplo, "10 días de tratamiento, 10 días de descanso" o "solo los fines de semana") es probablemente menor que en los regímenes diarios con GC. Sin embargo, puede existir cierto riesgo, especialmente durante la transición de los regímenes diarios a los intermitentes con GC.
 - Se debe consultar a un endocrinólogo local (o a distancia [es decir, telemedicina]) para que ayude en la transición de un régimen diario a uno intermitente de GC, si es posible.
- No se debe utilizar vamorolona para el tratamiento intermitente o solo durante los fines de semana con GC.
- En la **tabla 12** se muestran ejemplos de enfoques para gestionar las transiciones de GC:

Tabla 12. Ejemplos de enfoques para la transición de personas de un régimen de glucocorticoides a otro.

Navegue hasta el escenario deseado para la transición de GC. El manejo propuesto ofrece un enfoque potencial para realizar la transición de un régimen de GC a otro. El enfoque recomendado al realizar la transición de regímenes de GC es iniciar el nuevo GC con la dosis estándar de tratamiento DBMD (tal y como se describe en la información de prescripción) y luego ajustar la dosis deseada, si es necesario. Durante la reducción gradual de GC, si el paciente experimenta síntomas de insuficiencia suprarrenal, abstinencia suprarrenal o debilidad muscular, vuelva a la dosis anterior con la que se sentía bien, continúe con esta dosis hasta que se sienta bien de nuevo y, a continuación, considere una reducción más gradual.

- En los casos en los que los pacientes no puedan pasar a la dosis completa recomendada de DBMD, consulte con un endocrinólogo local (o a distancia, es decir, mediante telemedicina) para que le ayude con el plan de transición, si es posible; es posible que se necesiten GC adicionales de forma temporal durante la transición.
- En todos los casos, asegúrese de volver a informar al paciente y a sus cuidadores sobre los signos y síntomas de la insuficiencia suprarrenal y el plan de esteroides para el estrés.

Escenario	Tratamiento propuesto
Prednisona, prednisolona o deflazacort diarios hasta una dosis de vamorolona de 6 mg/kg/día (enfoque recomendado)	<ul style="list-style-type: none"> • No es necesario reducir la dosis gradualmente; se puede cambiar directamente a vamorolona 6 mg/kg/día • Asegúrese de que el primer día de administración de vamorolona sea inmediatamente después del último día de prednisona, prednisolona o deflazacort, de modo que no se omita ninguna dosis
Prednisona, prednisolona o deflazacort diarios a una dosis de vamorolona < 6 mg/kg/día (o < dosis máxima)	<ul style="list-style-type: none"> • Además de la dosis deseada de vamorolona, iniciar hidrocortisona, prednisona o prednisolona en dosis de mantenimiento (Tabla 10 o 11). • Se sugiere continuar durante 4 semanas después de la transición para facilitar un cambio suave de uno a otro, y luego suspender. • Si se desarrollan síntomas de abstinencia suprarrenal, iniciar una dosis moderada para el estrés (Tabla 5) seguida de una reducción gradual hasta la dosis de mantenimiento.
De vamorolona a prednisona, prednisolona 0.75 mg/kg/día o deflazacort 0.9 mg/kg/día (enfoque recomendado)	<ul style="list-style-type: none"> • No es necesario reducir la dosis gradualmente; se puede cambiar directamente a prednisona o prednisolona 0.75 mg/kg/día o deflazacort 0.9 mg/kg/día. • Asegúrese de que el primer día de administración de prednisona, prednisolona o deflazacort sea inmediatamente después del último día de administración de vamorolona, de modo que no se omita ninguna dosis.
Vamorolona a dosis de prednisona/prednisolona < 0.75 mg/kg/día o dosis de deflazacort < 0.9 mg/kg/día	<ul style="list-style-type: none"> • Si la dosis deseada de tratamiento con prednisona, prednisolona o deflazacort excede la triple dosis de mantenimiento (Tabla 9), no es necesario reducir la dosis gradualmente. Cambie directamente a la dosis deseada. • Si la dosis deseada de prednisona, prednisolona o deflazacort es inferior al triple de la dosis de mantenimiento (Tabla 9), cambie a la dosis triple de mantenimiento de prednisona, prednisolona o deflazacort (Tabla 9) y luego reduzca gradualmente en 2.5-5 mg cada 2 semanas hasta alcanzar la dosis deseada.

<p>Prednisona, prednisolona, deflazacort o vamorolona diarios a dosis intermitentes de prednisona, prednisolona o deflazacort, incluyendo 10 días de tratamiento y 10 días de descanso.</p>	<ul style="list-style-type: none"> • Comience el tratamiento de mantenimiento con prednisona, prednisolona o hidrocortisona (tablas 10 y 11) los días en que no reciba la dosis de tratamiento intermitente. Se sugiere continuar durante 4 semanas y luego suspender. Si se desarrollan síntomas de abstinencia suprarrenal, reinicie la dosis de mantenimiento y considere una duración más prolongada del tratamiento o una reducción gradual de las dosis de mantenimiento. • Si la dosis diaria del tratamiento intermitente con prednisona, prednisolona o deflazacort supera el triple de la dosis de mantenimiento (Tabla 9), no es necesario reducirla gradualmente. Cambie directamente a la dosis diaria deseada del tratamiento intermitente con prednisona, prednisolona o deflazacort. • Si la dosis diaria deseada de prednisona, prednisolona o deflazacort es inferior al triple de la dosis de mantenimiento (Tabla 9), cambie a la dosis triple de mantenimiento de prednisona, prednisolona o deflazacort en los días de tratamiento (Tabla 9) y luego reduzca la dosis en 2.5-6 mg cada dos semanas hasta alcanzar la dosis diaria deseada. • Asegúrese de que el primer día de tratamiento con prednisona, prednisolona o deflazacort siga inmediatamente al último día de tratamiento diario, de modo que no se omita ninguna dosis. • Vuelva a educar al paciente y a sus cuidadores sobre los signos y síntomas de la insuficiencia suprarrenal y el plan de esteroides para el estrés. • Consulte a un endocrinólogo, si es posible, y considere la posibilidad de realizar pruebas del eje HPA después de 1-6 meses (Tabla 8, Paso 3), para determinar si es necesario continuar con la cobertura rutinaria de esteroides para el estrés.
<p>Prednisona, prednisolona, deflazacort o vamorolona diarios a dosis de prednisona, prednisolona o deflazacort solo los fines de semana.</p>	<ul style="list-style-type: none"> • Comience con prednisona, prednisolona o hidrocortisona de mantenimiento (tablas 10 y 11) los días en que no se reciba la dosis de tratamiento intermitente. Sugiera continuar durante 4 semanas y luego suspender. Si se desarrollan síntomas de abstinencia suprarrenal, reinicie la dosis de mantenimiento y considere una duración más prolongada del tratamiento o una reducción gradual de las dosis de mantenimiento. • Si la dosis diaria del tratamiento con prednisona, prednisolona o deflazacort solo durante el fin de semana supera el triple de la dosis de mantenimiento (Tabla 9), comience directamente con la dosis de prednisona, prednisolona o deflazacort solo durante el fin de semana. • Si la dosis diaria del tratamiento con prednisona, prednisolona o deflazacort solo durante el fin de semana es inferior al triple de la dosis de mantenimiento (Tabla 9), cambie a la dosis de mantenimiento triple de prednisona, prednisolona o deflazacort (Tabla 9) y luego reduzca gradualmente entre 2.5 y 6 mg cada dos semanas hasta alcanzar la dosis diaria deseada para el tratamiento solo durante el fin de semana. • Asegúrese de que el primer día de la dosis de prednisona, prednisolona o deflazacort solo durante el fin de semana siga directamente al último día de la dosis diaria del tratamiento, de modo que no se omita ninguna dosis. • Vuelva a educar al paciente y a sus cuidadores sobre los signos y síntomas de la insuficiencia suprarrenal y el plan de esteroides para el estrés. • Consulte a un endocrinólogo, si es posible, y considere la posibilidad de realizar pruebas del eje HPA después de 1-6 meses (Tabla 8, Paso 3), para determinar si es necesario continuar con la cobertura rutinaria de esteroides para el estrés.

Agradecimientos:

En honor al difunto Philip James «PJ» Nicholoff, por su contribución a la comunidad mundial de Duchenne.

Autores:

Alexandra Ahmet, Kathi Kinnett, Maria-Elena Lautatzis, Hugh McMillan, Raoul Rooman, Kathryn Selby, Anne Marie Sbrocchi, Rachel Schrader, Aravindh Veeerapandiyan, Amanda Appel, Sasigarn Bowden, Anne Connolly, Janet Crane, Laura McAdam, Nadia Merchant, Garey Noritz, Maria Fernanda Ocho Molina, Stefan Nicolau, Julia Sorbara, Nora Renthall, Jaclyn Tamaroff, Sue Apkon, Meilan Rutter, Leanne Ward, David Weber, Jarod Wong, en nombre de Parent Project Muscular Dystrophy y el Consorcio OPTIMZE DMD. Contacto por correo electrónico: David Weber, MD, MSCE weberd@chop.edu

Referencias clave y recursos adicionales:

Información general sobre el manejo de la insuficiencia suprarrenal

Ahmet A, Mokashi A, Goldbloom EB, Huot C, et al. Adrenal suppression from glucocorticoids: preventing an iatrogenic cause of morbidity and mortality in children. *BMJ Paediatr Open*. 2019;3(1):e000569.

Bornstein SR, Allolio BA, Arlt W, et al. Diagnosis and Treatment of Primary Adrenal Insufficiency: An Endocrine Society Clinical Practice Guideline. *JCEM*.2016;101(2):364-89.

Mushtaq T, Ali SR, Boulos N, Boyle R, et al. Emergency and perioperative management of adrenal insufficiency in children and young people: British Society for Paediatric Endocrinology and Diabetes consensus guidance. *Arch Dis Child*. 2023;108(11):871-8.

Shulman DI, Palmert MR, Kemp SF, et al. Adrenal insufficiency: still a cause of morbidity and death in childhood *Pediatrics*. 2007;119(2): e484-94.

Información sobre la equivalencia de los glucocorticoides

Meikle AW, Tyler FH. Potency and duration of action of glucocorticoids. Effects of hydrocortisone, prednisone and dexamethasone on human pituitary-adrenal function *Am J Med*. 1977;63(2):200-7

Parente L. Deflazacort: therapeutic index, relative potency and equivalent doses versus other corticosteroids *BMC Pharmacol Toxicol*. 2017;18(1):1

Punthakee Z, Legault L, Polychronakos C. Prednisolone in the treatment of adrenal insufficiency: a re-evaluation of relative potency *J Pediatr* 2003;143:402–5. 73

Información sobre vamorolone

European Medicines Agency Vamorolone Prescribing Information: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/agamree> Last accessed 21 March 2025

FDA Vamorolone Prescribing Information In: https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/label/2023/215239s000lbl.pdf Last accessed 21 March 2025

Ahmet A, Tobin R, Dang UJ, et al: Adrenal suppression from vamorolone and prednisone in Duchenne muscular dystrophy: results from the phase 2b clinical trial. *JCEM* 2025, 110(2):334-344.

Dang UJ, Damsker JM, Guglieri M, et al: Efficacy and Safety of Vamorolone Over 48 Weeks in Boys With Duchenne Muscular Dystrophy: A Randomized Controlled Trial. *Neurology* 2024, 102(5):e208112

Guglieri M, Clemens PR, Perlman SJ, et al: Efficacy and Safety of Vamorolone vs Placebo and Prednisone Among Boys With Duchenne Muscular Dystrophy: A Randomized Clinical Trial. *JAMA Neurol* 2022, 79(10):1005-1014.

Mah JK, Clemefns PR, Guglieri M, et al: Efficacy and Safety of Vamorolone in Duchenne Muscular Dystrophy: A 30-Month Nonrandomized Controlled Open-Label Extension Trial. *JAMA Netw Open* 2022, 5(1):e2144178.

Mavroudis PD, van den Anker J, Conklin LS, et al. Population Pharmacokinetics of Vamorolone (VBP15) in Healthy Men and Boys With Duchenne Muscular Dystrophy. *J Clin Pharmacol*. 2019,59(7):979-988.

Versión 1.0; Fecha: 5 de mayo de 2025, disponible en **www.parentprojectmd.org**.

© 2025 Parent Project Muscular Dystrophy. All rights reserved.

This protocol guide is protected by US copyright laws and its contents are proprietary to PPMD. Reproduction and distribution of the guide, in whole or in part, without written permission of PPMD is prohibited.

Traducción: Avelino Nicolas #002917