



Informe público sobre la decisión de inclusión en la prestación farmacéutica de vamorolona (Agamree®) para el tratamiento de la distrofia muscular de Duchenne (DMD) en pacientes a partir de 4 años de edad.

Fecha de publicación: 29 de abril de 2026

¿Qué es vamorolona y para qué se utiliza?

Agamree® es el nombre comercial de un medicamento cuyo principio activo es vamorolona. El titular de la autorización de comercialización en la Unión Europea es SANTHERA PHARMACEUTICALS GMBH. En España, el laboratorio ofertante es SANTHERA PHARMACEUTICALS, S.L.U.

Agamree® es un medicamento que se utiliza para tratar la distrofia muscular de Duchenne en pacientes a partir de 4 años de edad.

La distrofia muscular de Duchenne es una enfermedad genética que causa gradualmente debilidad y pérdida de la función muscular.

La distrofia muscular de Duchenne es una enfermedad rara, y Agamree® fue designado «medicamento huérfano» (un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 22 de agosto de 2014.

¿Cómo funciona vamorolona?

El principio activo de Agamree®, la vamorolona, es un corticosteroide modificado y reduce la inflamación al bloquear la producción de ciertas sustancias inflamatorias llamadas citocinas.

No se conoce bien la forma en que actúa en los pacientes con distrofia muscular de Duchenne.

Información básica sobre la autorización

Agamree® está autorizado por un procedimiento centralizado, es decir, tiene una autorización válida concedida el 14 de diciembre de 2023 para toda la Unión Europea por la Comisión Europea tras la opinión favorable del Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) de la Agencia Europea de Medicamentos (EMA) ¹.

El estudio principal realizado en pacientes de entre 4 y 7 años demostró que Agamree® es eficaz a la hora de mejorar su capacidad de moverse. Dado que la vamorolona funciona de la misma manera que los corticosteroides utilizados actualmente, la Agencia llegó a la conclusión de que también puede utilizarse en pacientes de más edad.

En términos de seguridad, Agamree® presenta buenos resultados en la comparación con los corticosteroides convencionales y no causa algunos de los efectos adversos que provocan estos (como los efectos sobre los huesos y el crecimiento).

¹ Puede consultar la información en el siguiente enlace:

https://www.ema.europa.eu/es/documents/overview/agamree-epar-medicine-overview_es.pdf



Por lo tanto, la Agencia Europea de Medicamentos decidió que los beneficios de Agamree® son mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE.

Conclusiones de la evaluación comparada de Agamree®

La Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS) ha publicado el Informe de Posicionamiento Terapéutico (IPT) de Agamree®². Se considera que la vamorolona podría considerarse una alternativa terapéutica a los corticoides en pacientes con DMD que mantengan la capacidad de deambulación al inicio del tratamiento, especialmente cuando los corticoides no puedan seguir utilizándose por toxicidad inasumible, si bien estos tienen una mayor experiencia de uso. Deberá prestarse especial atención en los pacientes con cardiomiopatía sintomática, ya que sobre este grupo no se han realizado estudios.

La eficacia de vamorolona se evaluó en el estudio VBP15-004, un ensayo clínico en fase 2b, aleatorizado, doble ciego, con grupos paralelos, controlado con placebo y con un control activo, diseñado para evaluar la eficacia y seguridad de vamorolona en niños ambulantes con DMD. Constó de dos periodos de 24 semanas cada uno: en el primero los pacientes fueron asignados aleatoriamente a uno de cuatro grupos (vamorolona 2 mg/kg o 6 mg/kg, placebo o prednisona 0,75 mg/kg/día); En el segundo, todos recibieron vamorolona 2 o 6 mg/kg durante 20 semanas. El objetivo principal fue comparar la eficacia de vamorolona diaria 6 mg/kg durante 24 semanas frente a placebo en niños ambulantes de 4 a <7 años con DMD.

En el periodo 1, la variable primaria de medida de eficacia fue el cambio entre la situación basal y la semana 24 en la velocidad de la prueba cronometrada de levantarse del suelo (TTSTAND). Las variables secundarias clave fueron 6MWT y velocidad en la prueba TTRW y las variables exploratorias velocidad en la prueba TTCLIMB y NSAA. El estudio no se diseñó para mantener la tasa de error global de tipo I para las comparaciones de cada grupo de vamorolona frente a la prednisona, por lo que los resultados se presentan como una evaluación global de las diferencias de tratamiento entre las variables, expresadas en un cambio porcentual respecto a la situación basal con intervalos de confianza del 95% para estos criterios de valoración. En el caso de vamorolona 6 mg/kg/día, se observaron mejoras en todas las variables de eficacia motora durante el periodo 1 y se mantuvieron durante el periodo 2 del estudio. Sin embargo, estas mismas variables medidas tras administrar vamorolona a 2 mg/kg/día no fueron consistentes en la semana 48. Los pacientes que cambiaron durante el crossover de prednisona 0,75 mg/kg/día en el período 1 a vamorolona 6 mg/kg/día en el período 2 mantuvieron el beneficio en todas las variables de eficacia motora. Sin embargo, en los pacientes que cambiaron a vamorolona 2 mg/kg/día el beneficio en las variables de velocidad en las pruebas TTRW y TTCLIMB no se mantuvo.

El estudio de seguridad de vamorolona se realizó en base a varios estudios clínicos de fase 2a/b, un estudio controlado aleatorizado con una extensión no controlada (VBP15-004), y tres estudios abiertos no controlados (VBP15-002, VBP15-003, y VBP15-LTE). En el grupo 3, 2 de 164 sujetos tratados con vamorolona tuvieron un TEAE que llevó a la discontinuación del medicamento del estudio. Los efectos adversos más relevantes asociados con el uso de vamorolona incluyen síntomas del síndrome de Cushing, aumento de peso, irritabilidad, vómitos y supresión del eje hipotálamohipofisario-suprarrenal. Los síntomas del síndrome de Cushing, que incluyen características como "cara de luna llena", fueron notificados con una frecuencia del 28,6% en pacientes tratados con 6 mg/kg/día de vamorolona, siendo más comunes en los primeros seis meses de tratamiento. Este efecto es dosis-dependiente y se observó con menor frecuencia en el grupo de 2 mg/kg/día (6,7%).

² Puede consultar la información en el siguiente enlace:

<https://www.aemps.gob.es/medicamentosUsoHumano/informesPublicos/docs/2025/IPT-355-Agamree-vamorolona.pdf>



Actualmente, los glucocorticoides prednisona y deflazacort son los tratamientos más utilizados para la DMD, aunque no están autorizados específicamente para esta indicación en Europa. Aunque en el estudio VBP15-004 se comparó directamente el tratamiento con vamorolona frente a prednisona, los valores de p son nominales ya que no fue posible realizar pruebas estadísticas formales frente a prednisona al no cumplirse el orden jerárquico de pruebas preespecificado. Se comparó vamorolona administrada por vía oral a dosis diarias de 2 mg/kg y 6 mg/kg durante un período de tratamiento de 24 semanas frente a 0,75 mg/kg de prednisona diaria en niños ambulatorios de 4 a <7 años con DMD. Sobre la base de las evaluaciones globales, las mejoras en la función motora con vamorolona 6 mg/kg fueron en general similares a las observadas con prednisona en la semana 24, excepto para la 6MWT y la puntuación NSAA para la que prednisona proporcionó resultados numéricamente superiores. Al inicio, la distancia recorrida en el 6MWT era menor y el NSAA más bajo en el grupo de vamorolona 6mg/kg/día en comparación con el de prednisona. Sin embargo, a pesar de estas diferencias iniciales frente a vamorolona 6 mg/kg/día, no se encontraron diferencias estadísticamente significativas entre prednisona y vamorolona 6 mg/kg/día en el estudio VISION-DMD.

Vamorolona parece aportar una mejora en el perfil de seguridad óseo y de crecimiento de los pacientes con DMD en relación con los glucocorticoides, aunque está por definir la relevancia clínica de estos hallazgos. Sin embargo, su perfil de eficacia es similar a los corticoides, a falta de confirmación con estudios posteriores en los que se realice una comparación directa con poder estadístico.

Decisión de la Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos

La Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos, en su sesión de 25 de febrero de 2026, acordó proponer a la Dirección General de Cartera Común de Servicios del SNS y Farmacia la inclusión en la prestación farmacéutica del SNS de este medicamento y su financiación para tratar la distrofia muscular de Duchenne en pacientes a partir de 4 años de edad.

Información específica sobre restricciones o condiciones de financiación especiales

En el SNS su financiación se restringe teniendo en cuenta los siguientes criterios:

Criterios de Inicio:

1. La inclusión de Agamree® (vamorolona) en la prestación farmacéutica del Sistema Nacional de Salud queda restringida a una segunda línea para los pacientes con diagnóstico de distrofia muscular de Duchenne (DMD) confirmada mediante prueba genética, de 4 años o más, que hayan estado en tratamiento previo con glucocorticoides y que necesiten que se les reduzca la dosis más de un 30% (deflazacort, dosis media por debajo de 0,63 mg/kg/día) o se interrumpa el tratamiento, debido a efectos adversos.

Criterios de Discontinuación:

El tratamiento con Agamree® debe suspenderse si se cumple alguno de los siguientes supuestos:

1. Si no se cumplen criterios objetivos de seguridad ósea. Se entiende que no se cumplen estos criterios si, tras los primeros 24 meses de tratamiento con vamorolona, en cualquier periodo anual de evaluación posterior se produce un cambio de > 3 puntos de IDE (índice de deformidad espinal) confirmado por referencia a una radiografía lateral de la columna vertebral realizada al inicio de cada periodo de evaluación de 12 meses. A estos efectos no se considerarán las fracturas vertebrales causadas por traumatismo.



2. En caso de toxicidad inasumible.
3. Cuando el paciente requiera ventilación asistida permanente.

En cuanto al modelo de financiación de Agamree[®], se ha establecido un periodo de adquisición de envases sin coste desde la inclusión en el Nomenclátor del medicamento y su puesta en el mercado hasta el 30 de junio de 2026, seguido de un acuerdo de techo máximo de gasto de 3 años de duración para todo el Sistema Nacional de Salud (incluidas las Mutualidades: MUFACE, MUGEJU e ISFAS, así como Sanidad Penitenciaria) a contar desde el 1 de julio de 2026.

Asimismo, se ha acordado la devolución del diferencial entre el precio del medicamento suministrado a través de la aplicación de Medicamentos en Situaciones Especiales de la AEMPS y el precio financiado. El periodo aplicable a esta devolución es el transcurrido desde la Solicitud Inclusión en la Prestación Farmacéutica del Sistema Nacional de Salud de parte y el día de alta del fármaco en el Nomenclátor de facturación del SNS.

Más información

La situación de financiación de los medicamentos puede consultarse a través del buscador BIFIMED, accesible a través de la página del Ministerio de Sanidad, en el siguiente link:

<https://www.sanidad.gob.es/profesionales/medicamentos.do>

La búsqueda puede realizarse por principio activo, nombre del medicamento o código nacional.

Una vez se accede al medicamento en cuestión en el apartado "Más información" aparecen las indicaciones que están financiadas, las que no lo están, así como la fecha de alta en la financiación, entre otros.