



Neurology perspectives



17368 - SEGURIDAD Y EFICACIA A LARGO PLAZO DE EFGARTIGIMOD EN PACIENTES CON MIASTENIA GRAVIS GENERALIZADA

Dader Boronat, C.¹; Meisel, A.²; Bril, V.³; Vu, T.⁴; Karam, C.⁵; Peric, S.⁶; de Bleecker, J.⁷; Murai, H.⁸; Beydoun, S.⁹; Pasnoor, M.¹⁰; Guglietta, A.¹¹; Ulrichs, P.¹²; T'joen, C.¹³; Utsugisawa, K.¹⁴; Verschuuren, J.¹⁵; Mantegazza, R.¹⁶; Cortes Vicente, E.¹⁷; Howard, JR, J.F.¹⁷

¹Departamento Médico. Argenx; ²Department of Neurology. Charité - Universitätsmedizin Berlin; ³Neuroscience Centre. Krembil University Health Network; ⁴Department of Neurology. University of South Florida. Morsani College of Medicine; ⁵Penn Neuroscience Center. University of Pennsylvania; ⁶Neurology Clinic. University Clinical Center of Serbia. University of Belgrade; ⁷Department of Neurology. Ghent University Hospital; ⁸Department of Neurology. School of Medicine. International University of Health and Welfare; ⁹Department of Neurology. Keck School of Medicine. University of Southern California; ¹⁰Neurology. University of Kansas Medical Center; ¹¹Argenx; ¹²Argenx¹³Biostatistics. Argenx; ¹⁴Department of Neurology. Hanamaki General Hospital; ¹⁵Department of Neurology. Leiden University Medical Center; ¹⁶Department of Neuroimmunology and Neuromuscular Diseases. Fondazione IRCCS Istituto Neurologico Carlo Besta; ¹⁷Servicio de Neurología. Hospital de la Santa Creu i Sant Pau; ¹⁸Department of Neurology. The University of North Carolina.

Resumen

Objetivos: Efgartigimod es un fragmento Fc de anticuerpo IgG1 humano que bloquea el receptor Fc neonatal. En el estudio ADAPT el tratamiento con efgartigimod resultó en una mejoría clínica significativa de la miastenia *gravis* generalizada (gMG) según medidas específicas. Todos los pacientes que completaron ADAPT se incluyeron del ensayo clínico *open-label* ADAPT+, durante 3 años más. El objetivo de este estudio es evaluar la seguridad, tolerabilidad y eficacia de efgartigimod en pacientes con gMG inscritos en ADAPT+.

Material y métodos: Se administraron 10 mg/kg de efgartigimod vía intravenosa en ciclos (1/semana), durante 4 semanas, considerando ciclos posteriores en función de la respuesta clínica. La eficacia se evaluó durante cada ciclo utilizando diferentes escalas, entre ellas, MG-ADL y QMG, además de otros análisis secundarios.

Resultados: El 90% de los pacientes en ADAPT (151/167) se incluyeron en ADAPT+. En febrero 2021, 106 pacientes AChR-Ab+ y 33 pacientes AChR-Ab- habían recibido mínimo una dosis de efgartigimod (66 pacientes en grupo placebo de ADAPT incluidos). La duración media del estudio fue 363 días (114 DE), resultando 138 pacientes/año de observación. Los efectos secundarios más frecuentes (n = 139) fueron cefalea (22,3%; n = 31), nasofaringitis (10,8%; n = 15) y diarrea (8,6%; n = 12), en su mayoría leves o moderados. En el ciclo 1 de ADAPT+, se observó CMI en la población con un cambio medio (SE) desde el inicio del ciclo de -5,1 (0,32) en MG-ADL y -4,8 (0,36) en QMG. Esta mejoría ocurrió en cada ciclo durante hasta 10 ciclos. La mejoría clínica correlacionó con reducciones en los anticuerpos IgG y AChR totales en todos los ciclos. Se presentarán análisis adicionales.

Conclusión: Los resultados de este estudio sugieren que el tratamiento a largo plazo con efgartigimod fue bien tolerado y eficaz.