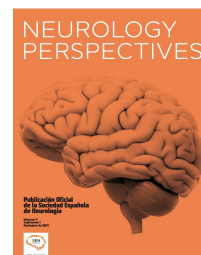




# Neurology perspectives



## 20410 - ENSAYO CLÍNICO FASE 2 DE EFICACIA Y SEGURIDAD DEL INHIBIDOR DE COMPLEMENTO C1S RILIPRUBART EN POLINEUROPATÍA DESMIELINIZANTE INFLAMATORIA CRÓNICA

Querol Gutiérrez, L.<sup>1</sup>; Lewis, R.<sup>2</sup>; Hartung, H.<sup>3</sup>; van Doorn, P.<sup>4</sup>; Wallstroem, E.<sup>5</sup>; Auwarter, K.<sup>6</sup>; Luo, X.<sup>7</sup>; Alonso Alonso, M.<sup>5</sup>; Atassi, N.<sup>5</sup>; Hughes, R.<sup>8</sup>

<sup>1</sup>Servicio de Neurología. Hospital de la Santa Creu i Sant Pau; <sup>2</sup>Cedars Sinai Medical Center; <sup>3</sup>Departamento Neurología. Heinrich-Heine-University; <sup>4</sup>Erasmus MC. University Medical Center; <sup>5</sup>Desarrollo Neurología. Sanofi; <sup>6</sup>Sanofi; <sup>7</sup>Bioestadística y Programación. Sanofi R&D; <sup>8</sup>Queen Square Institute of Neurology. University College London.

### Resumen

**Objetivos:** Describir resultados preliminares de eficacia y seguridad de riliprubart en pacientes con polineuropatía desmielinizante inflamatoria crónica (CIDP).

**Material y métodos:** Ensayo clínico multicéntrico fase 2 abierto (NCT04658472) que evalúa riliprubart en tres grupos de pacientes: con tratamiento estándar (inmunoglobulinas/corticoides), refractarios a tratamiento estándar y *naïve*. Duración del tratamiento con riliprubart: 24 semanas (parte A), con extensión opcional (parte B: 52 semanas; parte C: hasta fin del ensayo). El *endpoint* primario (parte A) es, en el grupo con tratamiento estándar, % participantes con recaída (incremento  $\geq 1$  punto aINCAT) tras el cambio a riliprubart. En los grupos refractario y *naïve*, el *endpoint* primario es % participantes con respuesta (disminución  $\geq 1$  punto aINCAT). La parte B evalúa la persistencia de la eficacia. Se evalúa también la seguridad.

**Resultados:** El análisis interino predefinido (parte A) mostró que el 88% (n = 22/25) de los pacientes con tratamiento estándar que cambiaron a riliprubart mejoraron o permanecieron estables. El 50% (n = 9/18) de los pacientes refractarios respondieron. Se observaron magnitudes de efecto significativas y consistentes en las medidas de eficacia utilizadas. Además, se observó inhibición de complemento sostenida y tendencia a la reducción de los niveles de pNfL. Se produjeron AAST en el 60% (n = 15/25) y el 72% (n = 13/18) de los pacientes con tratamiento estándar y refractarios, respectivamente. Más frecuentes: cefalea, fatiga y nasofaringitis. Hubo dos fallecimientos en pacientes con comorbilidades significativas, aparte de la CIDP.

**Conclusión:** Estos resultados demuestran prueba de concepto de riliprubart en CIDP, con un perfil de riesgo-beneficio favorable.