



# Neurology perspectives



## 17376 - CARACTERÍSTICAS BASALES DE LOS PACIENTES CON MIASTENIA GRAVIS INSCRITOS EN UN PROGRAMA DE ACCESO EXPANDIDO A EFGARTIGIMOD

Dader Boronat, C.<sup>1</sup>; de Bleecker, J.<sup>2</sup>; Löscher, W.<sup>3</sup>; Schneider-Gold, C.<sup>4</sup>; Verschuuren, J.<sup>5</sup>; Tard, C.<sup>6</sup>; Beauchamp, J.<sup>7</sup>; Cortes Vicente<sup>8</sup>, E.; Mantegazza, R.<sup>9</sup>

<sup>1</sup>Departamento Médico. Argenx; <sup>2</sup>Department of Neurology. University Hospital and St. Lucas General Hospital; <sup>3</sup>Department of Neurology. Medical University Innsbruck; <sup>4</sup>Department of Neurology. St. Josef Hospital. Ruhr-University of Bochum; <sup>5</sup>Department of Neurology. Leiden University Medical Center; <sup>6</sup>Center of Reference of Neuromuscular Disorders. Lille University Medical Center; <sup>7</sup>Argenx; <sup>8</sup>Servicio de Neurología. Hospital de la Santa Creu i Sant Pau; <sup>9</sup>Department of Neuroimmunology and Neuromuscular Diseases. Fondazione IRCCS Istituto Neurologico Carlo Besta.

### Resumen

**Objetivos:** La miastenia grave generalizada (gMG) es una enfermedad rara, mediada por autoanticuerpos IgG, que produce discapacidad y reduce la calidad de vida de los pacientes. En el estudio fase3 ADAPT, efgartigimod fue bien tolerado y eficaz en pacientes con gMG. El programa multinacional de acceso expandido (EAP) de efgartigimod aborda las necesidades no cubiertas de los pacientes con gMG sin opciones de tratamiento alternativas y efectivas y que no pueden participar en un ensayo clínico (abierto o planificado). Pacientes con IgG  $\geq 4$  g/L (mes anterior) son elegibles.

**Material y métodos:** El programa está abierto en Austria, Bélgica, Francia, Alemania, Italia, Países Bajos y España, pero cerrado en los EE. UU. (tras aprobación regulatoria para pacientes AChR-Ab+gMG). El EAP se gestiona de acuerdo con protocolos específicos del país o individuales alineados con la práctica clínica local (EE. UU.: NCT04777734). Algunos países requieren que los pacientes puntúen MG-ADL  $\geq 5$  ( $> 50\%$  no-oculares). Los pacientes incluidos reciben efgartigimod 10 mg/kg vía intravenosa según ciclos de tratamiento fijos o flexibles.

**Resultados:** A 3 de marzo de 2022, 38 pacientes inscritos. La mayoría mujeres (n = 23), 45-64 años (n = 15). 27 pacientes AChR-Ab, 8 seronegativos y 3 antiMusk-Ab. Mediana tiempo desde diagnóstico: 4 años. 34 pacientes niveles de IgG  $> 6$  g/L. La mayoría de los pacientes son de gravedad III según MGFA (n = 10 clase II, n = 8 clase IV). Tratamientos previos o actuales ( $\geq 10$  pacientes): esteroides (n = 35), piridostigmina (n = 28), inmunoglobulina intravenosa (n = 28), azatioprina (n = 26), plasmaféresis (n = 17), micofenolato-mofetilo (n = 13), rituximab (n = 10) y eculizumab (n = 10). 12 meses previos, 23 pacientes crisis de MG y/o hospitalización por gMG. 24% antecedentes de timentomía. 57%  $\geq 2$  comorbilidades.

**Conclusión:** El EAP aborda una necesidad no cubierta gMG de los pacientes sin alternativas eficaces de tratamiento y proporciona información sobre las características y el tratamiento de los pacientes con esta rara enfermedad.

2667-0496 / © 2022, Elsevier España S.L.U. y Sociedad Española de Neurología (SEN). Todos los derechos reservados.