



Neurology perspectives



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

Dader Boronat, C.¹; de Bleecker, J.²; Löscher, W.³; Schneider-Gold, C.⁴; Verschuuren, J.⁵; Tard, C.⁶; Beauchamp, J.⁷; Cortes Vicente⁸, E.; Mantegazza, R.⁹

¹Departamento Médico. Argenx; ²Department of Neurology. University Hospital and St. Lucas General Hospital; ³Department of Neurology. Medical University Innsbruck; ⁴Department of Neurology. St. Josef Hospital. Ruhr-University of Bochum; ⁵Department of Neurology. Leiden University Medical Center; ⁶Center of Reference of Neuromuscular Disorders. Lille University Medical Center; ⁷Argenx; ⁸Servicio de Neurología. Hospital de la Santa Creu i Sant Pau; ⁹Department 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 ≥ 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 ≥ 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 (? 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 timectomía. 57% ≥ 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.