



# Neurology perspectives



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

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

<sup>1</sup>Departamento Médico. Argenx; <sup>2</sup>Department of Neurology. Charité - Universitätsmedizin Berlin; <sup>3</sup>Neuroscience Centre. Krembil University Health Network; <sup>4</sup>Department of Neurology. University of South Florida. Morsani College of Medicine; <sup>5</sup>Penn Neuroscience Center. University of Pennsylvania; <sup>6</sup>Neurology Clinic. University Clinical Center of Serbia. University of Belgrade; <sup>7</sup>Department of Neurology. Ghent University Hospital; <sup>8</sup>Department of Neurology. School of Medicine. International University of Health and Welfare; <sup>9</sup>Department of Neurology. Keck School of Medicine. University of Southern California; <sup>10</sup>Neurology. University of Kansas Medical Center; <sup>11</sup>Argenx; <sup>12</sup>Argenx; <sup>13</sup>Biostatistics. Argenx; <sup>14</sup>Department of Neurology. Hanamaki General Hospital; <sup>15</sup>Department of Neurology. Leiden University Medical Center; <sup>16</sup>Department of Neuroimmunology and Neuromuscular Diseases. Fondazione IRCCS Istituto Neurologico Carlo Besta; <sup>17</sup>Servicio de Neurología. Hospital de la Santa Creu i Sant Pau; <sup>18</sup>Department 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.