



# Neurology perspectives



## 19416 - Selección de dosis y desarrollo clínico de efgartigimod PH20 subcutáneo (s.c.) en pacientes con miastenia grave generalizada (MGg)

Juntas Morales, R.<sup>1</sup>; Li, G.<sup>2</sup>; Li, Y.<sup>3</sup>; Vu, T.<sup>4</sup>; Korobko, D.<sup>5</sup>; Smilowski, M.<sup>6</sup>; Banaszkiwicz, K.<sup>7</sup>; Liu, L.<sup>8</sup>; Steeland, S.<sup>8</sup>; Van Hoorick, B.<sup>8</sup>; Podhorna, J.<sup>8</sup>; Casey, J.<sup>8</sup>; Noukens, J.<sup>9</sup>; Van Bragt, T.<sup>9</sup>; Utsugisawa, K.<sup>10</sup>; Wiendl, H.<sup>11</sup>; L. de Bleecker, J.<sup>12</sup>; Montegazza, R.<sup>13</sup>; Howard, Jr, J.<sup>14</sup>

<sup>1</sup>Servicio de Neurología. Hospital Universitari Vall d'Hebron; <sup>2</sup>Servicio de Neurología. Medsol Clinical Research Center Inc; <sup>3</sup>Servicio de Neurología. Cleveland Clinic; <sup>4</sup>Servicio de Neurología. University of South Florida Morsani College of Medicine; <sup>5</sup>Servicio de Neurología. State Novosibirsk Regional Clinical Hospital; <sup>6</sup>Department of Hematology and Bone Marrow Transplantation. Medical University of Silesia; <sup>7</sup>Servicio de Neurología. Krakowski Szpital Specjalistyczny im. Jana Pawła II; <sup>8</sup>Servicio de argenx. argenx; <sup>9</sup>Curare Consulting BV. Curare Consulting BV; <sup>10</sup>Servicio de Neurología. Hanamaki General Hospital; <sup>11</sup>Servicio de Neurología. University of Münster; <sup>12</sup>Servicio de Neurología. Ghent University Hospital; <sup>13</sup>Department of Neuroimmunology and Neuromuscular Diseases. Fondazione Istituto Neurologico Carlo Besta; <sup>14</sup>Servicio de Neurología. The University of North Carolina at Chapel Hill.

### Resumen

**Objetivos:** Confirmar la selección de dosis y justificar el uso del descenso de la IgG total como marcador FD de no inferioridad para el efgartigimod PH20 s.c. (coformulado con hialuronidasa humana recombinante PH20).

**Material y métodos:** Se usó FC/FD poblacional para elegir la dosis de efgartigimod PH20 s.c. y lograr un efecto FD similar al efgartigimod i.v. (10 mg/kg). En el análisis se usaron datos FC/FD de un estudio fase I donde 32 participantes sanos recibieron una sola inyección de efgartigimod PH20 s.c. a varias dosis fijas, incluyendo 10 mg/kg. Se hicieron simulaciones para participantes tipo de 70 kg, con un intervalo de dosis de 750-1.750 mg (incrementos de 25 mg). La dosis elegida se evaluó en participantes sanos y pacientes con MGg (estudio ADAPT-SC) con ciclos de 1 inyección semanal durante 4 semanas.

**Resultados:** Se previó que 1.000 mg de efgartigimod PH20 s.c. reducirían de modo similar la IgG total en el día 29, 1 semana tras la 4ª inyección, y fue la dosis elegida para ADAPT-SC. Los pacientes que pesaban 42,0-150,2 kg (mediana = 78,3 kg) recibieron un ciclo de tratamiento de 1.000 mg de efgartigimod PH20 s.c. y lograron descensos de la IgG total similares a los de 10 mg/kg de efgartigimod i.v. Los descensos también se asociaron a mejoras en MG-ADL.

**Conclusión:** La elección de la dosis fue adecuada; el tratamiento con 1000 mg de efgartigimod PH20 s.c. logró un descenso no inferior de la IgG total frente a 10 mg/kg de efgartigimod i.v. en el día 29.