



19102 - Estudio fase 3B abierto para evaluar la eficacia clínica de diferentes pautas posológicas de efgartigimod para una mayor individualización del tratamiento en pacientes con miastenia grave generalizada

Ortegón Aguilar, E.¹; García Sobrino, T.²; Sahagian, G.³; Hussain, Y.⁴; Feinberg, M.⁵; Habib, A.⁶; Skripuletz, T.⁷; Ruck, T.⁸; Brauer, E.⁹; Gelinas, D.⁹; Liu, L.⁹; Hristova, D.⁹; Mantegazza, R.¹⁰

¹Servicio de Neurología. Complexo Hospitalario Universitario de Santiago; ²Servicio de Neurología. Complejo Hospitalario Universitario de Pontevedra; ³Servicio de Neurología. The Neurology Center of Southern California; ⁴Servicio de Neurología. Austin Neuromuscular Center; ⁵Servicio de Neurología. South Florida Neurology Associates; ⁶Servicio de Neurología. University of California; ⁷Servicio de Neurología. Hannover Medical School; ⁸Servicio de Neurología. Heinrich-Heine University; ⁹Servicio de Neurociencias. Argenx; ¹⁰Servicio de Neurociencias. Fondazione IRCCS Istituto Neurologico Carlo Besta.

Resumen

Objetivos: Efgartigimod es un fragmento Fc derivado de la IgG1 humana que reduce los niveles de autoanticuerpos IgG mediante el bloqueo del receptor neonatal para el Fc. El estudio fase 3 ADAPT demostró la eficacia y seguridad de efgartigimod. El estudio fase 3b ADAPT NXT evaluará regímenes adicionales de dosificación. El objetivo es evaluar la eficacia, seguridad y tolerabilidad de efgartigimod 10 mg/kg IV administrado de manera continua o cíclica para alcanzar una mayor individualización de la dosificación.

Material y métodos: Podrán incluirse pacientes adultos con MGg que presenten autoanticuerpos antireceptor de la acetilcolina, con una puntuación en la escala MG-ADL ≥ 5 ($> 50\%$ de la puntuación debida a síntomas no-oculares) y con opción a recibir dosis estables de tratamientos orales concomitantes (N estimada = 72). Los pacientes se aleatorizarán 3:1 a recibir efgartigimod cada 2 semanas o bien en ciclos fijos intermitentes de 4 semanas. Tras el periodo inicial de 21 semanas, todos los pacientes podrán recibir efgartigimod cada 2 semanas, con opción a recibirla cada 3, según eficacia clínica.

Resultados: La variable principal es el cambio medio en la escala MG-ADL promediado durante el período de estudio de 21 semanas. Se evaluarán también seguridad, tolerabilidad, variables adicionales de eficacia clínica (incluyendo satisfacción del paciente), y efectos farmacocinéticos/farmacodinámicos.

Conclusión: El estudio ADAPT NXT proporcionará información importante acerca de regímenes de dosificación alternativos para una mayor individualización del tratamiento en función de las necesidades de los pacientes. Fecha estimada de finalización del estudio: 2025.