



## 21084 - SEGURIDAD Y EFICACIA A LARGO PLAZO DE ZILUCOPLÁN EN LA *MIASTENIA GRAVIS* GENERALIZADA: ANÁLISIS INTERMEDIO DE RAISE-XT EN LA SEMANA 120

Cortés Vicente, E.<sup>1</sup>; Freimer, M.<sup>2</sup>; Genge, A.<sup>3</sup>; Hewamadduma, C.<sup>4</sup>; Howard Jr., J.<sup>5</sup>; Hussain, Y.<sup>6</sup>; Maniaol, A.<sup>7</sup>; Mantegazza, R.<sup>8</sup>; Utsugisawa, K.<sup>9</sup>; Vu, T.<sup>10</sup>; Weiss, M.<sup>11</sup>; Borojerdi, B.<sup>12</sup>; Duda, P.<sup>12</sup>; Grimson, F.<sup>12</sup>; Vanderkelen, M.<sup>12</sup>; Leite, M.<sup>13</sup>

<sup>1</sup>Neuromuscular Diseases Unit. Hospital de la Santa Creu i Sant Pau; <sup>2</sup>Department of Neurology. The Ohio State University Wexner Medical Center; <sup>3</sup>Clinical Research Unit. The Montreal Neurological Institute; <sup>4</sup>Academic Neuroscience Unit. Sheffield Teaching Hospitals NHS Foundation Trust. Sheffield Institute for Translational Neurosciences (SITraN). University of Sheffield; <sup>5</sup>Department of Neurology. The University of North Carolina; <sup>6</sup>Department of Neurology. Dell Medical School. The University of Texas; <sup>7</sup>Department of Neurology. Oslo University Hospital; <sup>8</sup>Department of Neuroimmunology and Neuromuscular Diseases, Fondazione IRCCS. Istituto Nazionale Neurologico Carlo Besta; <sup>9</sup>Department of Neurology. Hanamaki General Hospital; <sup>10</sup>Department of Neurology. University of South Florida Morsani College of Medicine; <sup>11</sup>Department of Neurology. University of Washington Medical Center; <sup>12</sup>UCB Pharma; <sup>13</sup>Nuffield Department of Clinical Neurosciences. University of Oxford.

### Resumen

**Objetivos:** Este análisis intermedio del estudio de extensión abierto en fase III RAISE XT (NCT04225871) evalúa seguridad y eficacia de zilucoplán en la S120 en pacientes con *miastenia gravis* generalizada (MGg) con anticuerpos antirreceptor de acetilcolina (AChR).

**Material y métodos:** 200 adultos con MGg que completaron un estudio de cualificación doble ciego (NCT03315130/NCT04115293). Se autoadministraron 0,3 mg/kg de zilucoplán por vía subcutánea una vez al día. El criterio principal de valoración fue la incidencia de acontecimientos adversos en tratamiento (AAST). Se analizó el cambio desde el inicio con doble enmascaramiento hasta la S120 en la puntuación de MG-ADL para datos agrupados de participantes que recibieron 0,3 mg/kg de zilucoplán o placebo en los estudios de cualificación.

**Resultados:** En el corte de los datos (11-noviembre-2023), la exposición media (intervalo) a zilucoplán fue de 2,2 (0,11–5,6) años. Se produjeron AAST en 194 (97,0%) pacientes; 81 (40,5%) experimentaron un AAST grave. Los AAST más frecuentes fueron COVID-19 (n = 71 [35,5%]) y empeoramiento de la MG (n = 59 [29,5%]). De los 183 pacientes que recibieron 0,3 mg/kg de zilucoplán o placebo, 93 continuaron con zilucoplán y 90 cambiaron de placebo a zilucoplán. En la S120, la reducción media desde el inicio con doble enmascaramiento en la puntuación de MG-ADL de 0,3 mg/kg de zilucoplán fue 7,14 (error estándar 0,44).

**Conclusión:** En conclusión, zilucoplán demostró un perfil de seguridad favorable a largo plazo con eficacia mantenida hasta la S120. Financiación: UCB Pharma.