



Neurology perspectives



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

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