



Centro Servizi - Bologna Fiere

**NUOVE TERAPIE BIOLOGICHE E GESTIONE DELLE FORME REFRATTARIE DELLA MIASTENIA GRAVIS: UN'ANALISI DELLA LETTERATURA**

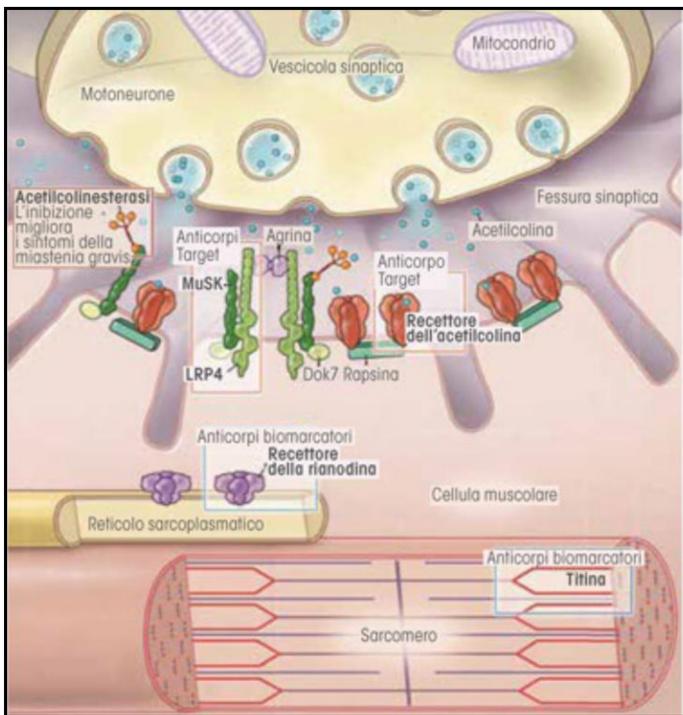
Katuscja Malandrini<sup>1</sup>, Marcello Vaccaro<sup>1</sup>, Lorenzo Martellone<sup>1,2</sup>, Maddalena Iori<sup>3</sup>, Camilla Servidio<sup>1,4</sup>, Adriana Coluccia<sup>1</sup>, Giacomo Polito<sup>1</sup>

<sup>1</sup>Farmacia Ospedaliera, AOU Policlinico Umberto I, Roma;

<sup>2</sup>Dipartimento di Sanità Pubblica e Malattie Infettive, Università degli Studi di Roma "La Sapienza", Roma,

<sup>3</sup>IRCCS "Regina Elena" National Cancer Institute, Department of Clinical Trial Center Biostatistics and Bioinformatics, Roma,

<sup>4</sup>Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma



Elementi chiave nella patogenesi della MG.

**BACKGROUND E OBIETTIVI**

La miastenia gravis (MG) è una malattia autoimmune rara che colpisce la giunzione neuromuscolare, compromettendo la qualità della vita. In Italia la prevalenza di MG è circa 15.000 casi, soprattutto donne sotto i 40 anni e uomini sopra i 50. I sintomi iniziali, come ptosi e diplopia, evolvono in una forma generalizzata nel 50-80% dei casi, con possibile crisi miastenica, un'emergenza medica con mortalità del 4-8%. È stata condotta un'analisi della letteratura con l'obiettivo di valutare l'efficacia, la sicurezza e i meccanismi di azione delle nuove terapie biologiche (TB) impiegate soprattutto nelle forme refrattarie (FR) di MG.

**MATERIALI E METODI**

Sono stati consultati i database PubMed, Cochrane Library e Embase, utilizzando i termini MeSH: "Myasthenia Gravis", "Autoimmune Diseases", "Therapeutics", "Biological Therapy", "Complement Inactivation" e "Immunoglobulins". Sono stati inclusi studi clinici randomizzati, meta-analisi, revisioni sistematiche e linee guida internazionali pubblicati tra il 2010 e il 2024, limitando la ricerca agli articoli in lingua inglese e italiana. Inoltre, sono stati considerati dati epidemiologici e clinici dalle fonti istituzionali Orphanet, Osservatorio Malattie Rare e AIFA.

**RISULTATI**

**Studio CHAMPION-MG (Fase III)**

**Ravulizumab**  
Anticorpo monoclonale IgG2/4  
Inibitore C5 a lunga durata d'azione

Miglioramento del 60% nei punteggi MG-ADL (Myasthenia Gravis Activities of Daily Living).

**Studio RAISE (Fase III)**

**Zilucoplan**  
Inibitore peptidico C5

Miglioramento del 40% nei punteggi MG-ADL.

**Studio ADAPT (Fase III)**

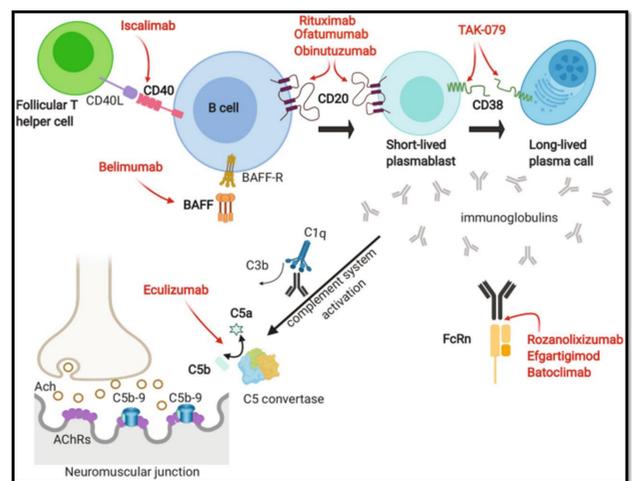
**Efgartigimod alfa**  
Frammento anticorpale IgG1 umano progettato per aumentare l'affinità per il recettore neonatale Fc

Riduzione di autoanticorpi del 60%  
Miglioramento significativo nei punteggi QMG (Quantitative Myasthenia Gravis).

**Studio MYCARING (Fase III)**

**Rozanolixizumab**  
Anticorpo monoclonale IgG4Pa lunga durata d'azione diretto contro il recettore Fc

Riduzione del 50% nei punteggi MG-ADL in pazienti MuSK-Ab+.



Principali target delle terapie della MG con anticorpi monoclonali.

Per il trattamento delle crisi miasteniche, la terapia di prima linea è costituita dalla plasmaferesi e dalle immunoglobuline per via endovenosa (con risposte rispettivamente del 70-80% e 60-70%). La timestomia, indicata in caso di iperplasia timica, porta a remissione completa nel 50% dei casi, soprattutto se eseguita entro tre anni dall'esordio.

**CONCLUSIONI**

L'approvazione di nuove TB rappresenta una svolta nel trattamento della MG, offrendo opzioni terapeutiche più efficaci e meglio tollerate rispetto alle terapie tradizionali. Tali farmaci, insieme a interventi come la plasmaferesi e la timestomia, migliorano la qualità di vita dei pazienti e riducono il rischio di CM. Ulteriori studi sono necessari per valutare la durata ottimale del trattamento soprattutto nei pazienti con timoma o forme sieronegative della malattia. Il futuro della gestione della MG appare promettente, con nuove terapie mirate che stanno trasformando il panorama clinico.