



## Trial of Intravenous Immune Globulin in Dermatomyositis



Rohit Aggarwal, M.D., Christina Charles-Schoeman, M.D., Joachim Schessel, M.D., Zsuzsanna Bata-Csörgő, M.D., Dr.Sc., Mazen M. Dimachkie, M.D., Zoltan Griger, M.D., Ph.D., Sergey Moiseev, M.D., Chester Oddis, M.D., Elena Schioppa, M.D., Jiri Vencovsky, M.D., Dr.Sc., Irene Beckmann, Elisabeth Clodi, Ph.D., Olga Bugrova, M.D., Katalin Dankó, M.D.\*, Floranne Ernste, M.D., Namita A. Goyal, M.D., Marvin Heuer, M.D., Marie Hudson, M.D., Yessar M. Hussain, M.D., Chafic Karam, M.D., Nina Magnolo, M.D., Ronald Nelson, M.D., Nataliia Pozur, Ph.D., Liudmyla Prystupa, M.D., Ph.D., Miklós Sárdy, M.D., Ph.D., Guillermo Valenzuela, M.D., Anneke J. van der Kooij, M.D., Tuan Vu, M.D., Margitta Worm, M.D., and Todd Levine, M.D. for the ProDERM Trial Group†

### Υπόβαθρο – Σκοπός

- Η ενδοφλέβια ανοσοσφαιρίνη (intravenous immunoglobulin, IVIG) χρησιμοποιείται στη θεραπεία των φλεγμονωδών μυοπαθειών, αλλά η αποτελεσματικότητά της δεν έχει μελετηθεί ενδελεχώς
- Σκοπός της μελέτης ήταν η εκτίμηση της αποτελεσματικότητας της IVIG σε ασθενείς με δερματομυοσίτιδα

### Μέθοδοι

- Τυχαιοποιημένη μελέτη ελεγχόμενη με placebo, στην οποία ασθενείς με ενεργό δερματομυοσίτιδα τυχαιοποιήθηκαν σε λόγο 1:1 να λάβουν IVIG σε δόση 2 gr/kg ή placebo κάθε 4 εβδομάδες για 16 εβδομάδες. Οι ασθενείς που έλαβαν placebo αλλά και όσοι δεν εμφάνισαν κλινική επιδείνωση ενώ λάμβαναν IVIG μπορούσαν να εισέλθουν σε ανοιχτή φάση επέκτασης της μελέτης για άλλες 24 εβδομάδες
- Το 1ο γενές καταληκτικό σημείο ήταν η κλινική απόκριση, ορισμένη ως Σκορ Συνολικής Βελτίωσης (Total Improvement Score, TIS, σύνθετο σκορ που δείχνει την αλλαγή σε 6 δείκτες ενεργότητας της μυοσίτιδας σε βάθος χρόνου - εύρος σκορ 0-100, με τις υψηλότερες τιμές να δείχνουν μεγαλύτερη βελτίωση)  $\geq 20$  (ενδεικτικό τουλάχιστον ελάχιστης βελτίωσης) την εβδομάδα 16 και όχι επιβεβαιωμένη επιδείνωση έως την εβδομάδα 16
- Βασικά 2ογενή καταληκτικά σημεία ήταν: τουλάχιστον μέτρια (TIS  $\geq 40$ ) και μείζονα βελτίωση (TIS  $\geq 60$ ), και αλλαγή στον δείκτη δερματικής βλάβης Cutaneous Dermatomyositis Disease Area and Severity Index

### Αποτελέσματα

- Συνολικά 95 ασθενείς τυχαιοποιήθηκαν (47 στην ομάδα της IVIG group, και 48 στο placebo)
- Στις 16 εβδομάδες, 79% των ασθενών στην ομάδα της IVIG (37/47) και 44% στο placebo (21/48) είχαν TIS  $\geq 20$  (διαφορά, 35%, 95% CI 17 ως 53%,  $p < 0.001$ ). Τα 2ογενή καταληκτικά σημεία, συμπεριλαμβανομένων της μέτριας και μείζονας βελτίωσης, ήταν σε γενικές γραμμές στην ίδια κατεύθυνση με το 1ο γενές τελικό σημείο, με εξαίρεση τα επίπεδα της CPK, τα οποία δε διέφεραν σημαντικά μεταξύ των 2 ομάδων
- Σε βάθος 40 εβδομάδων, 282 ανεπιθύμητες εκδηλώσεις (ΑΕ) σχετιζόμενες με τη θεραπεία παρατηρήθηκαν στην ομάδα της IVIG (κεφαλαλγία σε 42% των ασθενών, πυρεξία 19%, ναυτία 16%)
- Συνολικά 9 σοβαρές ΑΕ σχετιζόμενες με την IVIG συνέβησαν, μεταξύ αυτών 6 θρομβοεμβολικά επεισόδια

### Συμπεράσματα

- Σε αυτήν τη μελέτη 16 εβδομάδων σε ασθενείς με δερματομυοσίτιδα, το ποσοστό ασθενών με τουλάχιστον ελάχιστη βελτίωση ήταν σημαντικά υψηλότερο σε αυτούς που έλαβαν IVIG, συγκριτικά με όσους έλαβαν placebo
- Η IVIG σχετίστηκε με ανεπιθύμητες ενέργειες, μεταξύ αυτών και θρομβοεμβολικά επεισόδια

Aggarwal R, et al. *N Engl J Med* 2022; 387:1264-1278  
doi: [10.1056/NEJMoa2117912](https://doi.org/10.1056/NEJMoa2117912)