

# Inhibítory komplementu ekulizumab a ravulizumab v liečbe generalizovanej myasténie gravis (gMG)

MUDr. Ivan Martinka, PhD.

Centrum pre neuromuskulárne ochorenia, Neurologická klinika SZU a UNB, Nemocnica Ružinov, Bratislava

Súčasná konvenčná liečba generalizovanej myasténie gravis (gMG) má rôzne úskalia – neskorší nástup účinku niektorých liečiv, výskyt nežiaducich účinkov limitujúcich samotnú liečbu aj kvalitu života pacienta, nedostatočná účinnosť u malej skupiny pacientov. Preto sa vyvíjajú liečivá cielene ovplyvňujúce časti imunitného systému, ktoré sú v jednoznačnej kauzálnej súvislosti s etiopatogenezou MG. Výhodou týchto liekov je ich vysoká účinnosť a dobrý bezpečnostný profil. Ako sľubná terapeutická možnosť sa javia aj inhibítory komplementu, ktorý sa uplatňuje pri etiopatogéze MG s pozitivitou protilátok proti acetylcholínovému receptoru (AChR). V našej práci opisujeme mechanizmus účinku ekulizumabu a ravulizumabu, prezentujeme výsledky klinických štúdií a ich liekový profil.

**Kľúčové slová:** generalizovaná myasténia gravis, acetylcholínový receptor, komplement, ekulizumab, ravulizumab.

## Complement inhibitors eculizumab and ravulizumab in the treatment of generalized myasthenia gravis (gMG)

The current conventional treatment of generalized myasthenia gravis (gMG) has various pitfalls – later onset of effect of some drugs, occurrence of adverse effects limiting the treatment itself and the patient's quality of life, lack of effectiveness in a small group of patients. Therefore, new drugs are being developed that specifically affect parts of the immune system that are in a clear causal connection with the MG etiopathogenesis. The advantage of these drugs is their high efficiency and good safety profile. Complement inhibitors, which are used in the etiopathogenesis of MG with positivity of antibodies against the acetylcholine receptor (AChR), also appear as a promising therapeutic option. In our work, we describe the mechanism of action of eculizumab and ravulizumab, present the results of clinical studies and their drug profile.

**Key words:** generalized myasthenia gravis, acetylcholine receptor, complement, eculizumab, ravulizumab.

## Úvod

Myasténia gravis (MG) je autoimunitné ochorenie vyvolané autoprotilátkami poškodzujúcimi rôzne štruktúry postsynaptickej časti neuromuskulárnej juncie (NMJ). V dôsledku toho dochádza k postsynaptickej poruche neuromuskulárnej transmisie (Špalek, 2008). Prejavuje sa patologickou unaviteľnosťou

a svalovou slabosťou kolísavej intenzity priechodne pruhovaných svalov alebo svalových skupín (Špalek, 2008). MG je liečiteľné ochorenie. Súčasná štandardná liečba generalizovanej MG (inhibítory acetylcholínerastazy, kortikosteroidy, nesteroidné imunosupresíva, v indikovaných prípadoch tymektómia, intravenózne imunoglobulín – IVIg, plazmaferéza – PLF) má

## DECLARATIONS:

### Declaration of originality:

The manuscript is original and has not been published or submitted elsewhere.

### Ethical principles compliance:

The authors attest that their study was approved by the local Ethical Committee and is in compliance with human studies and animal welfare regulations of the authors' institutions as well as with the World Medical Association Declaration of Helsinki on Ethical Principles for Medical Research Involving Human Subjects adopted by the 18<sup>th</sup> WMA General Assembly in Helsinki, Finland, in June 1964, with subsequent amendments, as well as with the ICMJE Recommendations for the Conduct, Reporting, Editing, and Publication of Scholarly Work in Medical Journals, updated in December 2018, including patient consent where appropriate.

### Conflict of interest:

Not applicable.

### Consent for publication:

Not applicable.

Cit. zkr: *Neurol. praxi.* 2024;25(5):362-366

<https://doi.org/10.36290/neu.2024.047>

Článok prijat redakci: 17. 6. 2024

Článok prijat k publikaci: 16. 7. 2024

MUDr. Ivan Martinka, PhD.

ivan.martinka@gmail.com