



Nipocalimab (IMAAVY®) en adolescentes y adultos con miastenia gravis generalizada.

Observatorio Argentino CETSAI
para la innovación
farmacéutica.

Informe: 08

Versión: 01

Fecha de última actualización: Octubre de 2025



**UNIVERSIDAD
ISALUD**

CETSAI

CENTRO de EVALUACIÓN de TECNOLOGÍAS
SANITARIAS, ACCESO e INNOVACIÓN



RESUMEN

La miastenia gravis generalizada es una enfermedad autoinmune crónica que afecta a personas de todas las edades en Argentina y puede impactar de manera significativa la vida diaria de quienes la padecen, especialmente en aquellos que no responden a los tratamientos convencionales. Si bien existen diversas opciones terapéuticas disponibles, como inmunosupresores, plasmaféresis y anticuerpos monoclonales, persisten necesidades de control sostenido de la debilidad muscular y su repercusión en la calidad de vida.

El estudio Vivacity-MG3 señala que nipocalimab logra una mejoría en las actividades de la vida diaria de los pacientes tratados frente a placebo a los seis meses de seguimiento. Nipocalimab representa una opción terapéutica innovadora por su mecanismo de acción y resultados clínicos obtenidos. Recientemente fue autorizado en los Estados Unidos y su costo estimado es considerablemente alto, aunque no se hallaron evaluaciones económicas ni guías clínicas que la mencionen.

El presente trabajo es un documento de Escaneo del Horizonte priorizado, realizado y autofinanciado por el Observatorio Argentino CETSAI para la innovación farmacéutica. El Centro de Evaluación de Tecnologías Sanitarias, Acceso e Innovación (CETSAI) en la universidad ISALUD pretende adelantar información confiable al sistema de salud argentino para la toma de decisiones sobre el acceso a la innovación farmacéutica aún no disponible en el país.

Para citar esta publicación: Nipocalimab (IMAAVY®) en adolescentes y adultos con miastenia gravis generalizada. Observatorio Argentino CETSAI para la innovación farmacéutica, Informe de Escaneo del Horizonte N° 08, versión 01, Buenos Aires, Argentina. Octubre 2025. Disponible en: <https://cetsai.isalud.edu.ar/>

SUMMARY

Generalized myasthenia gravis is a chronic autoimmune disease that affects people of all ages in Argentina and can significantly impact the daily lives of those who suffer from it, especially those who do not respond to conventional treatments. Although various therapeutic options are available, such as immunosuppressants, plasmapheresis, and monoclonal antibodies, there remains a need for sustained control of muscle weakness and its impact on quality of life.

The Vivacity-MG3 study indicates that nipocalimab achieves improvement in activities of daily living in treated patients compared to placebo at six months of follow-up. Nipocalimab represents an innovative therapeutic option due to its mechanism of action and clinical results. It was recently approved in the United States and its estimated cost is considerably high, although no economic evaluations or clinical guidelines mentioning it were found.

This work is a Horizon Scanning document prioritized, conducted and self-funded by the CETSAI Argentine Observatory for Pharmaceutical Innovation. The Center for Health Technology Assessment, Access, and Innovation (CETSAI) at ISALUD University aims to provide the Argentine healthcare system with reliable information for decision-making regarding access to pharmaceutical innovation not yet available in the country.

To cite this publication: Nipocalimab (IMAAVY®) in adolescents and adults with generalized myasthenia gravis. Argentine Observatory for Pharmaceutical Innovation CETSAI, Horizon Scanning Report No. 08, version 01, Buenos Aires, Argentina. October 2025. Available at: <https://cetsai.isalud.edu.ar/>

INTRODUCCIÓN

La miastenia gravis generalizada es una enfermedad autoinmune crónica que afecta la unión neuromuscular, provocando debilidad fluctuante y fatigabilidad de la musculatura voluntaria, especialmente en músculos oculares, bulbares, de las extremidades y respiratorios.¹ En la miastenia gravis generalizada, los anticuerpos dirigidos contra el receptor de acetilcolina (AChR) o contra la tirosina cinasa específica del músculo (MuSK) son responsables de la alteración en la transmisión neuromuscular, lo que produce debilidad muscular fluctuante y generalizada. La presencia de estos anticuerpos permite identificar subtipos de la enfermedad, influye en el pronóstico, la respuesta al tratamiento y la selección de terapias específicas.¹⁻³

En Argentina, la miastenia gravis es reconocida como una enfermedad poco frecuente según la Resolución Ministerial 307/2023.⁴ La incidencia local reportada oscila entre 5 y 10 casos nuevos por cada 100.000 habitantes al año, y su prevalencia se estima entre 14 a 40 casos por cada 100.000, aunque algunos registros regionales elevan esta cifra a 35 por cada 100.000 habitantes, lo que sitúa los datos nacionales en línea con estimaciones internacionales. La enfermedad puede afectar a personas de cualquier grupo etario, pero se observa mayor frecuencia en mujeres en el primer pico etario (20-40 años) y en hombres en el segundo pico (55-65 años).^{1,3}

La miastenia gravis generalizada, si bien presenta una supervivencia notablemente mejorada en las últimas décadas, continúa ocasionando morbilidad relevante y comprometiendo la calidad de vida de las personas que la padecen.¹ Actualmente, gracias a los avances diagnósticos y terapéuticos, la sobrevida es similar a la de la población general, aunque aproximadamente un 20% de los pacientes con formas generalizadas graves puede requerir asistencia respiratoria, y de ellos hasta un 8% podría fallecer a pesar de la intervención óptima. Los síntomas fluctuantes de debilidad y fatiga impactan las actividades cotidianas, pudiendo limitar el rendimiento laboral, escolar y social, y requiriendo, en ocasiones, el apoyo de cuidadores o adaptaciones ambientales. Los estudios en Argentina confirman esta tendencia; aunque la mayoría de las personas que padecen la enfermedad presentan buena evolución clínica, una proporción significativa persiste con manifestaciones mínimas, exacerbaciones o discapacidad crónica leve/moderada, siendo excepcional la remisión completa sostenida.^{1,2,5}

El manejo de la miastenia gravis requiere equipos de salud multidisciplinarios capacitados y centros especializados para el diagnóstico precoz y manejo de crisis.⁶ La enfermedad aún no tiene cura y el abordaje farmacológico inicial incluye inhibidores de acetilcolinesterasa como el bromuro de piridostigmina para aliviar rápidamente los síntomas motores. Si la respuesta es insuficiente o hay riesgo de crisis, se combinan inmunosupresores como corticosteroides (prednisona) y fármacos ahorradores de esteroides (azatioprina, micofenolato mofetilo, ciclosporina). En casos graves o refractarios se utilizan plasmaféresis, inmunoglobulina intravenosa e inmunoterapias dirigidas más recientes, como inhibidores del complemento y bloqueadores de Fc neonatal. Además, la timectomía se reserva para pacientes jóvenes con timoma o miastenia grave sin timoma, sobre todo antes de los 50 años.⁶⁻⁸

El presente informe de Escaneo del Horizonte pretende evaluar el empleo del nuevo fármaco nipocalimab (IMAAVY®) en adolescentes y adultos con miastenia gravis generalizada.

TECNOLOGÍA

Nipocalimab (IMAAVY®) es un anticuerpo monoclonal humano, producido por Johnson & Johnson, que bloquea el receptor Fc neonatal (FcRn), lo que reduce los niveles circulantes de inmunoglobulina G (IgG), incluidos los autoanticuerpos patogénicos responsables de la enfermedad.⁹ Al disminuir las IgG patológicas, se minimiza la interferencia autoinmune sobre la transmisión neuromuscular.

La dosis inicial recomendada es de 30 mg/kg una vez mediante infusión intravenosa durante al menos 30 minutos. Dos semanas después de la dosis inicial, administre una dosis de mantenimiento de 15 mg/kg mediante infusión intravenosa durante al menos 15 minutos y continuar cada dos semanas a partir de entonces.⁹

La Administración de Alimentos y Medicamentos de los Estados Unidos (FDA, su sigla del inglés *U.S. Food and Drug Administration*) ha autorizado su comercialización en el año 2025 para el tratamiento de la miastenia grave generalizada en adultos y pediátricos de 12 o más años de edad que son positivos para el anticuerpo contra el AChR o contra la MuSK.⁹ La FDA también le ha otorgado la designación de medicamento huérfano. Por otro lado, la Agencia Europea de Medicamentos (EMA, si sigla del inglés *European Medicines Agency*) aún no la ha autorizado pero recientemente el Comité de Medicamentos de Uso Humano a brindado una opinión favorable.^{9,10}

OBJETIVO

El objetivo del presente documento de Evaluación de Tecnología Sanitaria (ETESA) ultrarrápida de Escaneo del Horizonte es evaluar los parámetros de eficacia, seguridad, costos y recomendaciones disponibles acerca del empleo de nipocalimab (IMAAVY®) en adolescentes y adultos con miastenia gravis generalizada ajustados a las necesidades, valores y preferencias del sistema de salud de Argentina.

MÉTODOS

Los informes del Observatorio Argentino CETSAI para la innovación farmacéutica siguen los lineamientos de la Comisión Nacional de Evaluación de Tecnologías Sanitarias y Excelencia Clínica (CONETEC) en el Ministerio de Salud de la Nación (Resolución Ministerial 2092/23; Disponible en: <https://www.boletinoficial.gob.ar/detalleAviso/primera/294474/20230920>) y la Red Internacional EuroScan (EuroScan International Network, A toolkit for the identification and assessment of new and emerging health technologies, 2014, EuroScan International Network: Birmingham. Disponible en: <https://www.euroscan.org/methods/methods-toolkit/>).

Se realizó una estrategia de búsqueda bibliográfica en los repositorios de PUBMED, LILACS, BRISA, COCHRANE, TRIPDATABASE, ClinicalTrials.gov., y la Plataforma de Registro Internacional de Ensayos Clínicos. Se buscó específicamente en las página web del Observatorio de Innovación del Instituto Nacional de Investigación en Salud (NIHR Innovation Observatory, su sigla del inglés *National Institute for Health Research Innovation Observatory*) de la Universidad de Newcastle y de la HealthTechScan internacional. Se complementó la misma con una búsqueda en Google Académico y Perplexity (Perplexity, 2025. Perplexity.ai. Disponible en: <https://www.perplexity.ai/>) para el recupero de literatura gris publicada por productores de la tecnología, organizaciones de pacientes, sociedades científicas, agencias reguladoras, financiadores de salud y organismos de ETESA.

Para comprender las necesidades, valores y preferencias del sistema de salud de Argentina se publicó un formulario de consulta pública para toda la sociedad en la web del CETSAI. El formulario estuvo disponible con anterioridad a la publicación de este informe y por un período de 7 (siete) días corridos con preguntas específicas que colaboraron a comprender el contexto argentino.

Se priorizó la inclusión de artículos para Argentina y Latinoamérica, revisiones sistemáticas con meta-análisis, ensayos clínicos controlados aleatorizados; así como también estudios de la vida real, informes de ETESA, evaluaciones económicas y recomendaciones para la práctica clínica y de cobertura.

La fecha de búsqueda de información fue hasta el 24 de octubre de 2025. Para la búsqueda en Pubmed se utilizó la siguiente estrategia de búsqueda: (Nipocalimab[tiab] OR IMAAVY[tiab]) AND (Myasthenia Gravis[MeSH] OR Myasthenia Gravis*[tiab] OR Generalized Myasthenia Gravis[tiab] OR Ocular Myasthenia Gravis[tiab])

EVIDENCIA CLÍNICA

A continuación se resumen las características de la evidencia seleccionada.

Tabla 1. Resumen de la evidencia seleccionada.

Estudios	Diseño	Población	Intervención y comparador	Desenlaces
Antozzi y cols., 2025 Vivacity-MG3 (NCT04951622) ¹¹	Fase 3, doble ciego, aleatorizado, multicéntrico	Adultos (≥18) con miastenia gravis generalizada anti-AChR/ MuSK/ LRP4+ y mala respuesta a tto. estándar	Nipocalimab (dosis carga 30 mg/kg, luego 15 mg/kg c/2 sem) vs placebo, ambos sobre tto. estándar	Cambio en MG-ADL; TEAEs similares; mejoría sostenida en 6 meses
Antozzi y cols., 2024 Vivacity-MG (NCT03772587) ¹²	Fase 2, doble ciego, aleatorizado	Adultos con miastenia gravis generalizada anti-AChR/ MuSK+ con respuesta inadecuada a tto. estándar	Nipocalimab IV (distintas dosis) vs placebo, sobre fondo estándar	Tendencia a reducción dosis-respuesta MG-ADL, TEAEs similares a placebo, bien tolerado
ClinicalTrials ¹³	Varios (Fase 2, 3, extensión abierta)	Adolescentes y adultos con miastenia gravis generalizada	Nipocalimab vs placebo/supervivencia/prolongación estándar, varios resultados	Resultados primarios: MG-ADL, QMG, seguridad, desenlaces de vida real

*tto: tratamiento; MG-ADL (del inglés *Myasthenia Gravis-Activities of Daily Living*); TEAE (Treatment-Emergent Adverse Events).

Antozzi y colaboradores publicaron en 2025 los resultados del estudio Vivacity-MG3, un ensayo clínico fase 3, multicéntrico, doble ciego, aleatorizado y controlado con placebo, cuyo objetivo fue evaluar la eficacia y seguridad de nipocalimab en adultos con miastenia gravis generalizada con respuesta inadecuada al tratamiento estándar.¹¹ El seguimiento doble ciego se realizó por 24 semanas en 81 centros especializados de 17 países, que no incluyó a Latinoamérica, y actualmente continúa una fase de extensión abierta para análisis de largo plazo.

La población seleccionada incluyó adultos (≥ 18 años) con diagnóstico de miastenia gravis generalizada positiva para anticuerpos anti-AChR, anti-MuSK o anti-LRP4 y MG-ADL mayor o igual a 6. Los pacientes fueron asignados 1:1 a infusiones IV de nipocalimab (dosis de carga 30 mg/kg, luego 15 mg/kg cada 2 semanas para mantenimiento) o placebo, siempre sobre tratamiento estándar de fondo. El desenlace primario fue la variación en el puntaje MG-ADL promedio en semanas 22–24 respecto al basal en la población seropositiva; se registraron también eventos adversos totales, infecciones y eventos graves.

Los resultados mostraron una reducción media ajustada en el puntaje MG-ADL de $-4,70$ (EE $0,329$) con nipocalimab versus $-3,25$ (EE $0,335$) con placebo, con una diferencia de $-1,45$ (IC 95%: $-2,38$ a $-0,52$; $p=0,0024$). La incidencia de eventos adversos fue similar en ambos grupos (84%) e incluyó un perfil comparable de infecciones y cefaleas. Se registraron eventos graves en 9% (nipocalimab) versus 14% (placebo), con un caso de desenlace fatal por crisis miasténica con nipocalimab y dos casos en el grupo control.

El estudio clave que justificó la autorización de nipocalimab en adolescentes con miastenia gravis generalizada es la cohorte adolescente del ensayo fase 2/3 Vibrance-MG. Este estudio, presentado en reuniones científicas de referencia en octubre de 2024, incluyó a adolescentes seropositivos de 12 a 17 años que recibieron nipocalimab intravenoso más tratamiento estándar, donde se mostraría una reducción del nivel de IgG cercana al 70%, mejoría en los puntajes funcionales y un perfil de seguridad favorable, sin eventos adversos graves ni discontinuaciones. Además, el 80% de los pacientes lograron una expresión mínima de síntomas al finalizar 24 semanas de seguimiento, resultados consistentes con los obtenidos en adultos en el estudio pivotal Vivacity-MG3.¹⁴

COSTOS

No se hallaron evaluaciones económicas para Argentina y el Mundo que mencionen el medicamento en la indicación evaluada.

En los Estados Unidos de América, el precio de adquisición sin descuentos es de USD 12.198,36 (ARS 19.090.433, octubre 2025) por un vial de dosis única de 1.200 mg/6,5 mL (185 mg/mL). Tomando en cuenta el precio relevado, el costo anual de tratamiento para un adulto de 80kg, dosis inicial de 30 mg/kg por única vez y mantenimiento de 15 mg/kg cada dos semanas, sería de aproximadamente USD 280.562 (ARS 439.079.968, octubre 2025).^{15,16}

RECOMENDACIONES

No se hallaron recomendaciones para Argentina y el Mundo que mencionen el medicamento en la indicación evaluada.

El Observatorio de Innovación del Instituto Nacional de Investigación en Salud y Atención (NIHR, su sigla del inglés *National Institute for Health and Care*) de Reino Unido destaca que nipocanimab sería una nueva opción de tratamiento para adultos con miastenia gravis generalizada que tiene una alta especificidad sitio de unión de IgG en FcRn y podría minimizar los efectos no deseados que usualmente posee la terapia estándar.¹⁷

INNOVACIÓN ESTRATÉGICA

Nipocalimab representa una innovación estratégica en el tratamiento de la miastenia gravis generalizada porque es el primer anticuerpo monoclonal dirigido específicamente al receptor neonatal Fc (FcRn), permitiendo una reducción rápida y controlada de los autoanticuerpos patogénicos implicados en la fisiopatología de la enfermedad. Su mecanismo de acción difiere fundamentalmente de las inmunoterapias convencionales, como los corticosteroides y los inmunosupresores de amplio espectro, brindando una alternativa biológica dirigida, con potencial para mejorar el control sintomático, reducir la carga terapéutica y aumentar la calidad de vida en pacientes refractarios o con respuesta insuficiente a los tratamientos actuales. El estudio Vivacity-MG3 demostró que nipocalimab, agregado al tratamiento estándar, logra una mejora significativa y sostenida en el control sintomático de la miastenia gravis generalizada, comparado con placebo a los seis meses de seguimiento.

ESTRATEGIAS DE ACCESO

No se hallaron políticas de cobertura o estrategias de acceso para Argentina y el Mundo que mencionen el medicamento en la indicación evaluada.

En Argentina, la cobertura de medicamentos para miastenia gravis está garantizada principalmente por el Programa Nacional de Atención al Paciente Miasténico, regulado por Resolución 435/2004 del Ministerio de Salud de la Nación y normativas posteriores.¹⁸ Este programa cubre el acceso gratuito y continuo al bromuro de piridostigmina y otros tratamientos esenciales para todas las personas sin cobertura médica formal, incluyendo la provisión y distribución en todas las provincias y mediante acuerdos interjurisdiccionales. La medicación se entrega a través del empadronamiento y registro nacional, mientras que provincias como Buenos Aires, Chaco y Catamarca cuentan con leyes y programas locales específicos que refuerzan la provisión de fármacos para la miastenia gravis y otorgan cobertura integral a quienes no tienen obra social. Las obras sociales y seguros privados también deben cubrir el 100% de la piridostigmina conforme al Programa Médico Obligatorio (PMO), y los pacientes pueden acceder a los fármacos mediante farmacias adheridas y programas de alto costo locales en caso de requerir medicaciones no incluidas en el vademécum oficial.^{18–22}

No se han identificado anuncios públicos específicos sobre un plan de lanzamiento o estrategia de comercialización formal de nipocalimab en Latinoamérica y Argentina por parte de Johnson & Johnson hasta octubre de 2025. El productor implementa programas de apoyo directo al paciente, como "IMAAVY withMe" en Estados Unidos, ofreciendo acompañamiento de enfermería, asesoría en reembolsos y asistencia financiera para personas con seguro comercial que enfrentan barreras de cobertura – incluyendo el acceso gratuito o con costo mínimo durante el primer año según criterios de elegibilidad e ingresos. Para mercados con sistemas públicos, promueve acuerdos de precio especial, presentaciones adaptadas y trabajo conjunto con agencias regulatorias.^{23,24}

REFERENCIAS

1. *Miastenia Gravis y Problemas Relacionados*. Claudio Mazia. 1st ed. Editorial Inter-Médica S.A.I.C.I.; 2017.
2. IntraMed. Miastenia gravis. 2024. Accessed October 26, 2025. <https://www.intramed.net/content/miastenia-gravis-1>
3. Ministerio de Salud de la Nación. Resolución 2058/2020. Argentina.gob.ar. 2020. Accessed October 26, 2025. <https://www.argentina.gob.ar/>
4. Listado de enfermedades poco frecuentes en Argentina. Argentina.gob.ar. December 11, 2020. Accessed October 26, 2025. <https://www.argentina.gob.ar/salud/pocofrecuentes/listado>
5. Aguirre F, Villa AM. [Myasthenia gravis. Register of 190 cases in a single center]. *Medicina (Mex)*. 2020;80(1):10-16.
6. Inmunopatogénesis, diagnóstico y tratamiento de la miastenia gravis. Accessed October 26, 2025. <https://www.intramed.net/content/76096>
7. Miastenia Gravis | Fleni. Accessed October 26, 2025. <https://www.fleni.org.ar/patologias-tratamientos/miastenia-gravis/>
8. Sociedad Española de Nuerología. Protocolo de tratamiento para la Miastenia Gravis generalizada con anticuerpos antirreceptor de acetilcolina (MGg AChR+). Documento de consenso. 2023. Accessed October 24, 2025. <https://share.google/iJ9wOcBcWiUYEtIqK>
9. U.S. Food and Drug Administration. FDA-Approved Drugs: Nipocalimab (IMAAVY®). 2025. Accessed October 26, 2025. <https://www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/daf/index.cfm?event=overview.process&ApplNo=761430>
10. European Medicines Agency. Nipocalimab (IMAAVY®). 2025. Accessed October 26, 2025. <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/imaavy>
11. Antozzi C, Vu T, Ramchandren S, et al. Safety and efficacy of nipocalimab in adults with generalised myasthenia gravis (Vivacity-MG3): a phase 3, randomised, double-blind, placebo-controlled study. *Lancet Neurol*. 2025;24(2):105-116. doi:10.1016/S1474-4422(24)00498-8
12. Antozzi C, Guptill J, Bril V, et al. Safety and Efficacy of Nipocalimab in Patients With Generalized Myasthenia Gravis: Results From the Randomized Phase 2 Vivacity-MG Study. *Neurology*. 2024;102(2):e207937. doi:10.1212/WNL.0000000000207937
13. ClinicalTrials.gov. Nipocalimab. 2025. Accessed October 26, 2025. <https://clinicaltrials.gov/search>

14. Nipocalimab demonstrates sustained disease control in adolescents living with generalized myasthenia gravis in Phase 2/3 study. JNJ.com. October 15, 2024. Accessed October 26, 2025. <https://www.jnj.com/media-center/press-releases/nipocalimab-demonstrates-sustained-disease-control-in-adolescents-living-with-generalized-myasthenia-gravis-in-phase-2-3-study>
15. Imaavy Prices, Coupons, Copay Cards & Patient Assistance. Drugs.com. Accessed October 26, 2025. <https://www.drugs.com/price-guide/imaavy>
16. Banco de la Nación Argentina. Accessed October 26, 2025. <https://www.bna.com.ar/Personas>
17. Nipocalimab for Generalised Myasthenia Gravis. NIHR Innovation Observatory. Accessed October 26, 2025. <https://io.nihr.ac.uk/news/tech-briefings/nipocalimab-for-generalised-myasthenia-gravis/>
18. Resolución 435/2004 | Argentina.gob.ar. Accessed October 26, 2025. <https://www.argentina.gob.ar/normativa/nacional/resoluci%C3%B3n-435-2004-95488>
19. ARGENTINA L. LEGISALUD ARGENTINA. Miastenia gravis. 2025. Accessed October 26, 2025. <http://www.legisprud.gov.ar/atlas/miastenia.html>
20. Ministerio de Salud de la provincia de Buenos Aires. Programas. Accessed October 26, 2025. <https://www.ms.gba.gov.ar/sitios/medicamentosecni/institucional/>
21. Creación del Programa Provincial de Miastenia Gravis en el ámbito del Parque de la Salud de la Provincia de Misiones “Dr. Ramón Madariaga.” SAIJ. Accessed October 26, 2025. <https://www.saij.gob.ar/LPN1700203>
22. IOMA. Medicamentos. Accessed October 26, 2025. <https://www.ioma.gba.gov.ar/index.php/medicamentos/>
23. IMAAVY™ (nipocalimab-aahu) | Official HCP Website. Accessed October 26, 2025. <https://www.imaavychp.com/generalized-myasthenia-gravis/access-and-support/>
24. IMAAVY™ - Insurance Coverage - IMAAVY withMe Access Program for UC. Janssen CarePath for Healthcare Professionals. Accessed October 26, 2025. <https://www.janssencarepath.com/hcp/imaavy/insurance-coverage/access-program>



CENTRO de EVALUACIÓN de TECNOLOGÍAS
SANITARIAS, ACCESO e INNOVACIÓN

cetsai.isalud.edu.ar

