

# 治疗重症肌无力的抗体类药物临床应用与药学管理循证专家共识<sup>Δ</sup>

段 蓉<sup>1,2,3\*</sup>, 李正翔<sup>1,2,3#</sup>, 左笑丛<sup>4</sup>, 赵荣生<sup>5</sup>, 侯锐钢<sup>6</sup>, 杨春生<sup>1</sup>, 乞国艳<sup>7</sup>(1. 天津医科大学总医院药剂科, 天津 300052; 2. 中国药师协会药品临床评价工作委员会, 天津 300052; 3. 天津市药品使用监测和临床综合评价中心, 天津 300052; 4. 中南大学湘雅三医院, 长沙 410013; 5. 北京大学第三医院药学部, 北京 100191; 6. 山西医科大学第二医院药剂科, 太原 030001; 7. 石家庄市人民医院河北省重症肌无力诊疗中心, 石家庄 050020)

中图分类号 R746.1;R971 文献标志码 A 文章编号 1001-0408(2026)09-1113-09  
DOI 10.6039/j.issn.1001-0408.2026.09.02



**摘要** 目的 为临床合理应用抗体类药物治疗重症肌无力提供规范化指导,完善该领域指南共识的循证证据体系。方法 共识专家团队由来自28个省/自治区/直辖市的71名多学科专家构成,通过多种数据库、药品说明书,以及国际和各国卫生行政主管部门、药监部门、医疗保障部门或相关行业协会的官方网站等多途径,系统检索截至2025年4月30日的证据,按照2014版JBI干预性研究证据预分级体系进行证据分级。在充分考虑当前最佳循证证据、多学科专家经验的基础上,通过改良德尔菲法形成专家共识推荐意见。结果 《治疗重症肌无力的抗体类药物临床应用与药学管理循证专家共识》针对中国大陆地区已获批上市的4种治疗重症肌无力的抗体类药物(艾加莫德 $\alpha$ 、艾加莫德 $\alpha$ /透明质酸酶、依库珠单抗、罗泽利昔单抗),规范其全流程药学管理要点,形成了37条专家共识推荐意见,涵盖药物的适用性选择、特殊人群用药、用药方式、药品储存、治疗药物监测与药物基因检测、免疫接种管理、药物相互作用、药学监护、超说明书用药9个药学管理环节。结论 该共识依托当前最佳循证证据以及多学科专家经验,构建了治疗重症肌无力的抗体类药物从临床应用到药学管理的全流程管理规范,为临床合理精准使用此类药品提供了科学依据,有效促进了药学管理效能的提升,有助于提高患者药物治疗的综合获益。

**关键词** 重症肌无力;抗体类药物;专家共识;循证评价;临床应用

## Evidence-based expert consensus on the clinical application and pharmaceutical management of antibody-based drugs for the treatment of myasthenia gravis

DUAN Rong<sup>1,2,3</sup>, LI Zhengxiang<sup>1,2,3</sup>, ZUO Xiaocong<sup>4</sup>, ZHAO Rongsheng<sup>5</sup>, HOU Ruigang<sup>6</sup>, YANG Chunsheng<sup>1</sup>, QI Guoyan<sup>7</sup>(1. Dept. of Pharmacy, Tianjin Medical University General Hospital, Tianjin 300052, China; 2. Drug Clinical Evaluation Working Committee of Chinese Pharmacists Association, Tianjin 300052; 3. Tianjin Center for Drug Use Monitoring and Clinical Comprehensive Evaluation, Tianjin 300052, China; 4. the Third Xiangya Hospital, Central South University, Changsha 410013, China; 5. Dept. of Pharmacy, Peking University Third Hospital, Beijing 100191, China; 6. Dept. of Pharmacy, the Second Hospital of Shanxi Medical University, Taiyuan 030001, China; 7. Hebei Myasthenia Gravis Diagnosis and Treatment Center, Shijiazhuang People's Hospital, Shijiazhuang 050020, China)

**ABSTRACT OBJECTIVE** To provide standardized guidance for the rational clinical use of antibody-based drugs for the treatment of myasthenia gravis, and to enhance the evidence-based system of guidelines and consensus in this field. **METHODS** The consensus expert team consisted of 71 multidisciplinary experts from 28 provinces/autonomous regions/municipalities directly under the Central Government. Evidence was systematically retrieved through multiple databases, drug package inserts, and official websites of international and national health administrative authorities, drug regulatory agencies, healthcare security departments, and related industry associations, up to April 30, 2025. Evidence was graded according to the 2014 version of JBI pre-grading

system for evidence from intervention studies. Based on full consideration of the current best evidence and multidisciplinary expert experience, the expert consensus recommendations were formulated using a modified Delphi method. **RESULTS** The Evidence-based expert consensus on the clinical application

<sup>Δ</sup> 基金项目 天津市药品临床综合评价项目(No.TZH-2025-017)  
\* 第一作者 副主任药师。研究方向:药品临床综合评价、循证药  
学。电话:022-60362568。E-mail:duanrong2001@163.com  
# 通信作者 主任药师。研究方向:医院药学、药品临床综合评价。  
电话:022-60363702。E-mail:13820893896@163.com

and pharmaceutical management of antibody-based drugs for the treatment of myasthenia gravis standardized the key points of whole-process pharmaceutical management for four antibody-based drugs approved for marketing in the mainland of China for the treatment of myasthenia gravis (efgartigimod alfa, efgartigimod alfa/hyaluronidase, eculizumab, and rozanolixizumab). It formulated 37 expert consensus recommendations covering nine pharmaceutical management aspects: drug suitability selection, medication in special populations, administration methods, drug storage, therapeutic drug monitoring and pharmacogenetic testing, immunization management, drug interactions, pharmaceutical care, and off-label drug use. **CONCLUSIONS** Based on the current best evidence and multidisciplinary expert experience, this consensus establishes a whole-process management framework for antibody-based drugs for the treatment of myasthenia gravis, from clinical application to pharmaceutical management. It provides a scientific basis for the rational and precise use of these drugs in clinical practice, effectively promotes the enhancement of pharmaceutical management efficiency, and helps improve the overall therapeutic benefits for patients.

**KEYWORDS** myasthenia gravis; antibody-based drugs; expert consensus; evidence-based evaluation; clinical application

重症肌无力是一种严重的慢性自身免疫性疾病,主要由乙酰胆碱受体(acetylcholine receptors, AChR),或肌肉特异性受体酪氨酸激酶(muscle-specific receptor tyrosine kinase, MuSK)、低密度脂蛋白受体相关蛋白4等相关的抗体介导,导致神经肌肉接头功能出现障碍,从而引发肌无力和疲劳等症状<sup>[1-3]</sup>。重症肌无力在全球的患病率为(150~250)/100万,预估年发病率为(4~10)/100万<sup>[4-5]</sup>。我国重症肌无力发病率约为0.68/10万,住院病死率约为14.69%,主要死亡原因包括呼吸衰竭、肺部感染等<sup>[6]</sup>。随着重症肌无力病理机制研究的持续深入,其治疗策略也在不断发展,主要治疗策略包括胸腺切除、血浆置换、药物治疗等;传统的药物治疗方法,如胆碱酯酶抑制剂、免疫抑制药物和糖皮质激素,可在一定程度上缓解症状,但临床治疗需求尚未得到充分满足,且常伴有明显的副作用和疗效的个体差异<sup>[7-9]</sup>。因此,探索更具有针对性且疗效更佳的治疗手段成为当前研究的热点。

抗体类药物作为一类新型生物制剂,近年来在重症肌无力治疗领域取得了重要进展<sup>[10]</sup>。抗体类药物能够通过调节B细胞活性、抑制补体系统、抑制新生儿Fc受体(neonatal Fc receptor, FcRn)等途径,缓解肌无力症状<sup>[9,11]</sup>,其疗效已通过一系列临床试验得以验证<sup>[9-12]</sup>。然而,抗体类药物在重症肌无力治疗中仍存在若干待明确的关键问题,例如药物作用机制特点与合理选用、药物安全性特点、类固醇豁免效果,以及患者对给药途径的依从性等,目前针对这些方面尚缺乏相应的专家共识或指南。

基于现有证据,结合相关抗体类药物的上市情况,中国药师协会组织专家开展了《治疗重症肌无力的抗体类药物临床应用与药学管理循证专家共识》(以下简称“共识”)的研究制定工作,旨在为重症肌无力治疗中抗体类药物的合理应用和规范化管理提供指导与参考。

## 1 共识的制定与方法

### 1.1 共识制定目的

基于现行法律法规、最佳循证证据以及多学科专家的实践经验,构建了抗体类药物治疗重症肌无力从临床应用药学管理的全流程工作共识。此共识为临床合理精准使用该类药物提供了科学依据,能有效促进药学管理效能的提升,助力提高患者药物治疗的综合获益。

### 1.2 共识适用对象

本共识适用于各级医疗机构重症肌无力专科的临床医师、临床药师、药事管理者及相关医疗决策人员。

### 1.3 共识制定单位及专家组成

本共识由天津医科大学总医院、天津市药品使用监测和临床综合评价中心联合发起,并在中国药师协会的支持下立项。共识专家团队由来自28个省/自治区/直辖市的71名多学科专家构成,成员涵盖临床药学、临床医学、循证医学、医院管理、药物经济学、治疗药物监测等多个学科领域。根据职能,共识专家被划分为共识指导组、共识制定组和共识工作组。共识指导组专家负责对共识制定进行整体指导与统筹,审定共识制定方案、核心框架及关键内容;协调解决制定过程中的重大问题,把控共识的科学性、严谨性与权威性;最终审核并批准共识定稿。共识制定组专家负责对共识核心内容进行研究、撰写与修订;梳理相关证据,结合临床或实践经验,明确共识关键观点;参与共识研讨,确保共识内容准确规范。共识工作组专家承担共识制定的日常协调与执行工作;收集筛选相关资料、数据,组织专家研讨会;负责共识文稿的校对、排版、汇总,保障共识制定工作有序推进。本共识制定工作于2025年1月启动,于2025年9月定稿。

### 1.4 共识注册

本共识在国际实践指南注册与透明化平台注册,注册号为PREPARE-2026CN336,注册分类为“专家共识”。

## 1.5 共识制定方法

### 1.5.1 研究问题的调研与遴选

由共识制定组专家对国内外已发表的治疗重症肌无力的抗体类药物相关指南、共识等文件展开全面回顾,拟定初步研究问题。随后采用德尔菲法进行讨论、修订与增补,最终确定了本共识的研究问题。研究问题包括药物的适用性选择、特殊人群用药、用药方式、药品储存、治疗药物监测与药物基因检测、免疫接种管理、药物相互作用、药学监护、超说明书用药共9个方面。

### 1.5.2 证据检索与来源

针对已确定的研究问题,依据PICO(人群、干预措施、对照措施、结局指标)原则,将其分解为主题词或自由词,并制定相应的检索策略。检索语言限定为中文和英文,检索时限从建库起至2025年4月30日。证据来源涵盖以下方面——(1)临床实践指南数据库:国际指南协作网、美国国立临床诊疗指南数据库、加拿大临床实践指南数据库、苏格兰院际指南网、澳大利亚临床实践指南数据库、医脉通等。(2)系统评价、卫生技术评估研究数据库:Cochrane图书馆、国际卫生技术评估机构网、欧洲卫生技术评估网等。(3)文献数据库:PubMed、Embase、Web of Science、中国生物医学文献服务系统、万方、中国知网、维普等中英文数据库。(4)国际和各国卫生行政主管部门、药监部门、医疗保障部门或相关行业协会的官方网站。(5)公共搜索引擎:秘塔AI、Kimi等智能检索工具。(6)药品说明书:我国国家药品监督管理局、美国食品药品监督管理局核准发布的药品说明书。同时,针对非公开发表的灰色文献以及纳入研究的参考文献进行手工补充检索。

### 1.5.3 证据分级评价方法

本共识为药理学管理循证专家共识,采用2014版JBI

干预性研究证据预分级体系进行证据分级,共分为5个等级,每个等级内依据证据类型和数据进一步分为3~5级,以a、b、c、d、e标示,详见表1。

### 1.5.4 推荐强度形成方法

通过改良德尔菲法形成专家共识推荐意见。先由专家在充分考量当前最佳循证证据以及多学科经验的基础上,对形成的推荐意见进行选择,包括:非常同意、同意、不清楚、不同意、非常不同意。再根据专家意见汇总分析形成共识推荐强度,形成规则如下:(1)若>50%的专家选择“非常同意”,且>70%的专家选择“非常同意”或“同意”,则达成推荐意见共识,推荐强度为“强推荐”;(2)若>50%的专家选择“非常同意”或“同意”,同时<20%的专家选择“不同意”或“非常不同意”,则达成推荐意见共识,推荐强度为“弱推荐”;(3)其余情况视为“未达成共识”。

## 1.6 共识研究药物范围

抗体类药物凭借其高度的特异性和作用机制的多样性,在多种疾病的治疗中展现出显著的优越性,其基本作用机制包括:与抗原结合,中和病原体或毒素;标记靶细胞,使免疫系统能够识别并清除;阻断细胞信号通路,进而抑制疾病进展<sup>[13-16]</sup>。在重症肌无力治疗领域,抗体类药物主要通过特异性靶向神经肌肉接头或调节免疫系统的活性来发挥作用,主要包括FcRn靶点抗体类药物、C5靶向补体药物和靶向B细胞抗体药物等。本共识系统梳理了截至2025年4月30日中国大陆地区申报用于重症肌无力临床试验的抗体类药物及其审批情况,并根据药物是否已获批上市以及研发进程进行了分类汇总。目前,中国大陆地区已有4个药品上市并获批用于重症肌无力相关适应证,这些药品是本共识重点关注的对象,详见表2。

表1 2014版JBI干预性研究证据预分级体系

证据等级	设计类型	描述
1级	RCT/实验性研究	1a:多项RCT的系统评价;1b:多项RCT及其他干预性研究的系统评价;1c:单RCT;1d:准RCT
2级	类实验性研究	2a:多项类实验性研究的系统评价;2b:多项类实验性研究与其他低质量干预性研究的系统评价;2c:单项前瞻性有对照的类实验性研究;2d:前后对照或回顾性对照的类实验性研究
3级	观察性-分析性研究	3a:多项队列研究的系统评价;3b:多项队列研究与其他低质量观察性研究的系统评价;3c:单项有对照组的队列研究;3d:单病例对照研究;3e:单无对照组的观察性研究
4级	观察性-描述性研究	4a:多项描述性研究的系统评价;4b:多项横断面研究;4c:病例系列研究;4d:个案研究
5级	专家意见/基础研究	5a:对专家意见的系统评价;5b:专家共识;5c:基础研究或单项专家意见

RCT:随机对照试验。

表2 治疗重症肌无力的抗体类药物审批情况

中英文药物名称	靶点	作用方式	药物类型	全球获批上市时间	中国获批上市时间	获批国家地区	特殊审评获批(国家/地区)
艾加莫德α(efgartigimod alfa)	FcRn	拮抗剂、调节剂	Fc片段	2021年12月17日	2023年6月30日	美国、中国、欧盟、日本、英国、加拿大、澳大利亚、冰岛、韩国、列支敦士登、挪威	快速通道(美国);孤儿药(欧盟、韩国、美国);儿科研究计划(欧盟);优先审评(中国、美国);潜力创新药(英国);突破性疗法(中国)
艾加莫德α/透明质酸酶(efgartigimod alfa/hyaluronidase)	FcRn	拮抗剂、调节剂	Fc片段	2023年6月20日	2024年7月9日	美国、中国、日本	孤儿药(美国);优先审评(中国、美国)
依库珠单抗(eculizumab)	C5	抑制剂	单克隆抗体	2007年3月16日	2018年9月4日	美国、中国、欧盟、日本、澳大利亚、冰岛、韩国、列支敦士登、挪威	孤儿药(澳大利亚、欧盟、韩国、美国、日本);优先审评(中国)
罗泽利昔单抗(rozanolixizumab)	FcRn	拮抗剂、调节剂	单克隆抗体	2023年6月26日	2025年3月25日	美国、中国、欧盟、日本、英国、澳大利亚、冰岛、列支敦士登、挪威	孤儿药(欧盟、美国);优先审评(日本、美国)

## 2 推荐意见

### 2.1 药物的适用性选择

**推荐意见 1:**艾加莫德 $\alpha$ 以及艾加莫德 $\alpha$ /透明质酸酶推荐用于——(1)AChR 抗体阳性的成人全身型重症肌无力患者<sup>[17-19]</sup>(1a, 强推荐);(2)严重感染已得到控制,处于急性加重期、危象前状态或肌无力危象的患者<sup>[20-23]</sup>(1c, 强推荐);(3)对传统免疫治疗不耐受或反应不充分,治疗后症状无明显改善甚至加重的患者<sup>[24-25]</sup>(1b, 弱推荐);(4)有条件且需尽快达到并维持最小症状表达[日常生活活动能力(Activities of Daily Living, ADL)评分为0分或1分]的患者<sup>[24]</sup>(5b, 弱推荐)。

**推荐意见 2:**依库珠单抗推荐用于——(1)AChR 抗体阳性的难治性全身型重症肌无力成人患者<sup>[25-28]</sup>(1a, 强推荐);(2)经其他免疫抑制剂治疗无效、AChR 抗体阳性的全身型重症肌无力患者<sup>[28-29]</sup>(1c, 弱推荐)。

**推荐意见 3:**罗泽利昔单抗推荐用于 AChR 或 MuSK 抗体阳性的全身型重症肌无力成人患者<sup>[25, 30-31]</sup>(1a, 强推荐)。

### 2.2 特殊人群用药

#### 2.2.1 妊娠期女性

**推荐意见 4:**艾加莫德 $\alpha$ 、艾加莫德 $\alpha$ /透明质酸酶、依库珠单抗、罗泽利昔单抗仅在确实有使用必要,且

经评估临床获益超过风险的情况下,才可考虑用于治疗妊娠期女性;同时,建议对母体和胎儿进行严密监测<sup>[24]</sup>(5b, 弱推荐)。

#### 2.2.2 哺乳期女性

**推荐意见 5:**(1)尚无人体研究证据表明哺乳期女性重症肌无力患者可以使用艾加莫德 $\alpha$ 、艾加莫德 $\alpha$ /透明质酸酶、罗泽利昔单抗,只有在评估临床获益超过风险时,才可考虑在哺乳期使用以上药物<sup>[24]</sup>(5b, 弱推荐);(2)哺乳期女性重症肌无力患者需谨慎使用依库珠单抗,同时密切监测依库珠单抗或母体基础疾病对母乳喂养婴幼儿的潜在不良影响(5c, 弱推荐)。

#### 2.2.3 儿童患者

**推荐意见 6:**不推荐儿童患者使用艾加莫德 $\alpha$ 、艾加莫德 $\alpha$ /透明质酸酶、依库珠单抗、罗泽利昔单抗<sup>[24-32]</sup>(5b, 弱推荐)。

#### 2.2.4 老年患者

**推荐意见 7:**年龄 $\geq 65$ 岁的老年患者使用艾加莫德 $\alpha$ 、艾加莫德 $\alpha$ /透明质酸酶、依库珠单抗、罗泽利昔单抗时,通常无需进行剂量调整(5c, 弱推荐)。

### 2.3 用药方式

**推荐意见 8~11** 详见表 3。

表 3 治疗重症肌无力的抗体类药物的用药方式推荐意见表

推荐意见	药品	给药途径	给药剂量	治疗方案	给药方法	漏用补救	配制条件	注意事项
<b>推荐意见 8</b>	艾加莫德 $\alpha$ <sup>[22, 33]</sup>	仅可通过静脉注射	本品的推荐剂量为 10 mg/kg, 静注给药(1a, 射 1 h; 在体重 $\geq 120$ kg 的患者中, 本品的推荐剂量为每次输注 1 200 mg (1c, 强推荐))	首周期每周 1 次, 连续 4 周为 1 个治疗周期, 后期根据临床评价结果决定是否给予后续的治疗。推荐治疗方案一: 第 1 个治疗周期后固定间隔 4 周进入下一个治疗周期; 推荐治疗方案二: 第 1 个治疗周期后每 2 周 1 次。此外, 如需要根据临床结果进行评价, 可参考的 ADAPT 研究, 如症状恶化或重症肌无力 ADL 评分 $\geq 5$ 分即可启动再治疗周期(1c, 强推荐)	本药注射液以 0.9% 氯化钠注射液稀释, 使给药总体积为 125 mL; 滴注时应使用 0.2 $\mu$ m 直通式过滤器; 滴注结束后, 用 0.9% 氯化钠注射液冲洗整个管路(1c, 强推荐)	如果错过了计划输注时间, 本品可在计划时间点后 3 d 内给药; 此后, 可使用先前给药方案, 直至本治疗周期结束; 如果给药需要延迟 3 d 以上, 则不应给药, 以确保连续 2 次给药至少间隔 3 d(1c, 强推荐)	(1) 无菌操作: 制备本品的静脉注射用稀释溶液时, 应使用无菌技术; (2) 温度平衡: 给药前稀释溶液应放置至室温, 从冰箱中取出后, 应在 4 h 内完成滴注; 除环境温度外, 稀释后的药物不得以任何其他方式加热; (3) 溶液检查: 应检查本品是否为澄清至微乳光, 无色至淡黄色; 在溶液和容器允许的情况下, 给药前应目视检查注射用药物中是否含有颗粒、是否变色; 若存在不透明颗粒、变色或其他异物, 则不得使用; (4) 器具选择: 使用无菌注射器和针头从西林瓶中轻轻抽取所需体积的本品; 西林瓶的任何未使用部分均应丢弃; 药液稀释后, 可使用聚乙烯、聚氯乙烯、乙烯-醋酸乙烯共聚物或乙烯/聚丙烯共聚物袋(聚烯烃袋)等输液袋以及聚乙烯、聚氯乙烯、乙烯-醋酸乙烯共聚物或聚氨酯/聚丙烯材质的输液管进行给药; (5) 使用时间: 稀释后应立即使用, 并在稀释后 4 h 内完成滴注; 如稀释溶液无法立即使用, 可在 2~8 $^{\circ}$ C 下最多避光保存 8 h, 不得冷冻	不得将其他药物注射到输液侧端口或与本品混合
<b>推荐意见 9</b>	艾加莫德 $\alpha$ /透明质酸酶 <sup>[22]</sup>	皮下注射, 不可静注	推荐剂量为 1 000 mg(1a, 强推荐)	每周注射 1 次, 持续 4 周(为 1 个治疗周期); 根据临床评估管理后续治疗周期, 治疗周期的频率可能因患者而异(1c, 强推荐)	皮下注射给药除在第 1 个治疗周期和第 2 个治疗周期的首次给药(即前 5 次给药)必须由医护人员进行或在医护人员的监督下进行外, 后续治疗可由患者或护理者在接受充分的皮下注射技术培训后在家中给药; 选择腹部注射(距肚脐 5~7 cm 以外区域), 避开红肿、瘀伤、触痛、硬结、疔或疤痕处, 每次注射需轮换部位; 以约 45 度角皮下注射至捏起的皮肤区域, 注射时间 30~90 s(1c, 强推荐)	如果错过了预定剂量, 艾加莫德 $\alpha$ /透明质酸酶可以在预定时间点后 3 d 内给药; 此后, 恢复原来的给药方案, 直到治疗周期完成; 如果给药需要延迟 3 d 以上, 则不应给药, 以确保连续 2 次给药至少间隔 3 d(1c, 强推荐)	(1) 无菌操作: 在配制和使用, 应使用无菌技术; 不要摇晃药瓶, 每个药品仅供一次性使用, 避免阳光直射; (2) 温度平衡: 注射前至少提前 15 min 将药品从冰箱中取出, 使其达到室温, 不要使用外部热源; (3) 溶液检查: 检查本品是否为淡黄色、澄清至乳光溶液; 给药前应目视检查注射用药品中是否含有颗粒; 若存在不透明颗粒或其他异物, 请勿使用; (4) 器具选择: 使用聚丙烯注射器和 18 G 不锈钢转移针从西林瓶中全部抽出; 使用由聚乙烯制成的带针翼输液器(25 G, 30 厘米管, 最大预充量为 0.4 mL)给药	无

续表3

推荐意见	药品	给药途径	给药剂量	治疗方案	给药方法	漏用补救	配制条件	注意事项
<b>推荐意见10</b>	依库珠单抗 <sup>[28]</sup>	静脉注射(1a, 强推荐)	起始期: 前4周每周1次, 静脉注射 900 mg; 维持期: 第5周静脉注射 200 mg, 后续每(14±2)d 静脉注射 1 200 mg(1c, 强推荐)	包含一个4周起始期及随后的维持期	本药注射液以0.9%氯化钠注射液、0.45%氯化钠注射液、5%葡萄糖注射液或林格氏液稀释至终浓度为5 mg/mL, 请勿静脉推注或快速静脉给药; 在成人患者中, 本品的稀释溶液经重力输液方式, 以注射泵或输液泵在25~45 min内静脉注射给药; 出现不良反应时应减慢滴速或停止滴注, 减慢滴速后总滴注时间不得超过2 h(1c, 强推荐)	无	(1) 无菌操作: 制备本品的静脉注射用稀释溶液时, 应使用无菌技术。(2) 温度平衡: 使用前应将稀释溶液调整至接近室温的温度(18~25 °C), 但不得采用微波或其他热源进行加热。(3) 溶液检查: 用药前, 应目测检查本品溶液是否有颗粒物以及是否变色。(4) 器具选择: 用无菌注射器将本品从瓶内全部抽出, 将建议剂量的溶液转入输液袋中。(5) 使用时间: 稀释后的溶液在2~8 °C以及室温条件下, 24 h内可保持稳定	玻璃瓶中任何未用的剩余溶液须丢弃
<b>推荐意见11</b>	罗泽利昔珠单抗 <sup>[29]</sup>	输液泵(亦称注射泵)或手推注射器(1a, 强推荐)	体重 35~<50 kg: 280 mg; 体重 50~70 kg: 420 mg; 体重 70~<100 kg: 560 mg; 体重 ≥100 kg: 840 mg(1c, 强推荐)	第一个治疗周期为每周1次, 连续6周; 后续治疗周期需根据临床评估情况实施(1c, 强推荐)	选择腹部注射(首选右下腹或左下腹, 肚脐以下), 避免在皮肤有触痛、红斑或硬结的区域进行输注。使用输液泵给药时, 应以最快不超过20 mL/h的恒定输注速率输注; 使用注射器给药时, 应以患者感觉舒适的输注速率输注, 手动推注的输注时间为1~30 min, 中位输注时间为5 min(1c, 强推荐)	如果错过预定剂量, 可以在预定时间点后4 d内给药; 此后, 依然按原给药方案给药, 直至治疗周期完成(1c, 强推荐)	(1) 无菌操作: 配制和给药时需遵循无菌技术。(2) 温度平衡: 注射前至少提前30 min从冰箱取出小瓶, 使其达到室温, 禁止使用外部热源加热。(3) 溶液检查: 溶液应为淡黄色, 澄清至略带乳白色状态, 若出现不透明颗粒或异物, 禁止使用。(4) 器具选择: 使用聚丙烯注射器和18 G不锈钢转移针抽取全部内容物, 去除大的气泡。(5) 使用时间: 在刺穿药瓶4 h内使用	储存和配制过程中需避免阳光直射; 因无防腐剂可能增加微生物污染风险, 故需严格遵循“即配即用”原则

## 2.4 药品储存

**推荐意见12~15** 详见表4。

**表4 治疗重症肌无力的抗体类药物的药品储存推荐意见表**

推荐意见	药物	储存条件	推荐等级及推荐强度
<b>推荐意见12</b>	艾加莫德 $\alpha$	常规储存: 避光, 2~8 °C保存, 不得冷冻或振摇	1c, 强推荐
<b>推荐意见13</b>	艾加莫德 $\alpha$ 透明质酸酶	常规储存: 避光, 2~8 °C保存, 不得冷冻或振摇。室温短期储存: 如有需要, 最多可将药品在室温下(20~25 °C)存放3 d, 给药或放回冷藏处, 请勿将药品在室温下存放超过1次	1c, 强推荐
<b>推荐意见14</b>	依库珠单抗	常规储存: 避光, 2~8 °C保存, 不得冷冻; 患者输液期间, 本品的稀释溶液无需避光。室温短期储存: 如有需要, 需将药品置于原包装中, 自冰箱冷藏条件下取出时可在25 °C以下单次放置最多2 d, 之后应立即使用	1c, 强推荐
<b>推荐意见15</b>	罗泽利昔珠单抗	常规储存: 应将药品冷藏于2~8 °C环境中, 存放于原包装内; 避光, 直至使用时取出; 禁止冷冻, 禁止摇晃。室温短期储存: 药品可在室温下(25 °C)存放, 最长可存放30 d	1c, 强推荐

## 2.5 治疗药物监测与药物基因检测

**推荐意见16~21** 详见表5。

**推荐意见22:** 整体上, 目前治疗重症肌无力的抗体类药物尚缺乏统一的监测标准, 需结合药代动力学参数、临床表现及实验室指标进行个体化调整<sup>[28, 36, 38~39]</sup>(5a, 弱推荐)。

## 2.6 免疫接种管理

**推荐意见23:** 在FcRn拮抗剂治疗期间不推荐接种减毒活疫苗或活疫苗(1c, 强推荐)。

**推荐意见24:** 在抗体类药物治疗重症肌无力的新治疗周期开始前, 应依据免疫指南评估是否需要接种适龄疫苗(1c, 强推荐)。

**推荐意见25:** 依库珠单抗的潜在不良反应为脑膜炎球菌感染, 因此所有患者在给药前至少2周必须接种脑

**表5 治疗重症肌无力的抗体类药物的治疗药物监测与药物基因检测推荐意见表**

检测类别	推荐意见	药物	具体监测
治疗药物监测	<b>推荐意见16</b>	依库珠单抗	(1) 血药浓度: 有限的证据显示血药浓度维持在50~100 $\mu$ g/mL, 可满足临床治疗需要 <sup>[24~33]</sup> (4c, 弱推荐); (2) 补体功能: 检测C5b-9水平评估补体抑制效果, 警惕补体激活反弹(如肌无力危象)或过度抑制(如脑膜炎球菌感染风险) <sup>[28, 34~35]</sup> (4c, 弱推荐)
	<b>推荐意见17</b>	艾加莫德 $\alpha$	(1) 血药浓度: 基于其药代动力学特性及目前的临床试验数据, 推荐谷浓度 $\geq 5 \mu$ g/mL, 维持FcRn抑制作用 <sup>[36~38]</sup> (3e, 弱推荐); (2) 免疫球蛋白G水平: 监测总免疫球蛋白G及致病性抗体滴度(如抗AChR抗体), 治疗后总免疫球蛋白G可下降50%~70%, 需警惕低免疫球蛋白G血症及感染风险 <sup>[36~38]</sup> (3e, 弱推荐)
	<b>推荐意见18</b>	罗泽利昔珠单抗	(1) 血药浓度: 谷浓度需维持 $\geq 10 \mu$ g/mL以确保FcRn持续抑制 <sup>[39~41]</sup> (5c, 弱推荐); (2) 免疫球蛋白G水平: 监测总免疫球蛋白G及抗AChR抗体滴度, 治疗后免疫球蛋白G下降幅度与艾加莫德 $\alpha$ 下降幅度相似, 关注低免疫球蛋白G血症及呼吸道感染风险 <sup>[39~41]</sup> (4d, 弱推荐)
药物基因检测	<b>推荐意见19</b>	依库珠单抗	补体通路相关基因; CS基因多态性可能影响药物结合效率, 需关注补体调节蛋白变异对疗效的潜在影响 <sup>[42~43]</sup> (3c, 弱推荐)
	<b>推荐意见20</b>	艾加莫德 $\alpha$	目前证据显示, 以下2个代谢基因需要关注——(1) FcRn编码基因( <i>FCGR2</i> ): rs11683138(T/A)变异影响药物结合亲和力, A等位基因携带者的免疫球蛋白G可能清除更快, 疗效更显著 <sup>[44~45]</sup> (3c, 弱推荐); (2) 免疫球蛋白G亚型相关基因: 抗AChR抗体亚型(如免疫球蛋白G1、免疫球蛋白G3)由IGH基因座编码, 高亲和力和亚型提示对艾加莫德 $\alpha$ 更敏感 <sup>[44~45]</sup> (3c, 弱推荐)
	<b>推荐意见21</b>	罗泽利昔珠单抗	目前证据显示, 以下2个代谢基因需要关注——(1) FcRn通路基因( <i>FCGR2</i> ): 与艾加莫德 $\alpha$ 共享靶点, 需关注 <i>FCGR2</i> 启动子区变异(如rs2241378)对药物结合的潜在影响, 目前研究显示其疗效与 <i>FCGR2</i> 基因型的相关性弱于艾加莫德 $\alpha$ <sup>[46~47]</sup> (5c, 弱推荐); (2) B细胞相关基因: 虽非直接靶向B细胞, 但抗MuSK抗体阳性患者需关注B细胞活化因子相关基因(如 <i>TNFRSF13B</i> )对抗体产生的影响 <sup>[46~47]</sup> (3c, 弱推荐)

膜炎球菌疫苗; 若因病情限制无法完成接种, 可在预防性使用抗生素的基础上使用依库珠单抗, 待病情允许后再补充接种(1c, 强推荐)。

## 2.7 药物相互作用

**推荐意见 26:**与FcRn拮抗剂存在相互作用的药物包括人免疫球蛋白、单克隆抗体(包括依库珠单抗)、含人免疫球蛋白G亚型Fc结构域的抗体衍生物以及其他可与FcRn结合的药物,FcRn拮抗剂会加快此类药物在体内的清除速度,减少其全身暴露量,进而降低其有效性;建议在使用FcRn拮抗剂5个半衰期(15~25 d)后再应用此类药物,同时应密切监测其有效性和安全性;当必须长期使用上述药物时,可考虑停用FcRn拮抗剂并采用替代疗法(1c,强推荐)。

**推荐意见 27:**与依库珠单抗存在相互作用的药物指人免疫球蛋白,长时间静脉滴注人免疫球蛋白,可能会对单克隆抗体(包含依库珠单抗)的FcRn内吞体循环机制产生干扰;联合使用时,可能会降低依库珠单抗的血药浓度;若必须联合使用,需对药物疗效进行密切监测(1c,强推荐)。

## 2.8 药学监护

**推荐意见 28:**在滴注期间以及滴注结束后的1 h内,应当监测是否出现超敏反应的临床症状与体征;若在滴注期间出现超敏反应,应减缓输液速度或停止滴注,并在必要时采取适当的支持措施(1c,强推荐)。

**推荐意见 29:**若出现轻、中度输液相关反应,可能需要进行密切的临床观察、减缓滴注速度以及采取预防用药措施;若出现重度输液相关反应,应当停止滴注并启动适当的治疗,重新用药前需权衡利弊(1c,强推荐)。

**推荐意见 30:**在FcRn拮抗剂治疗期间,需常规监测感染风险;若出现感染情况,应密切监测感染者的临床症状与体征;对于严重感染者,应启动多学科诊治模式,给予相应的抗感染治疗,并考虑调整免疫治疗方案<sup>[22]</sup>(1c,强推荐)。

**推荐意见 31:**重症肌无力危象前状态的患者恢复后,建议在前3个月每月随访1次;之后,若病情稳定,可每3~6个月随访1次;随访时,需评估症状表现(重症肌无力-ADL评分),关注呼吸、吞咽等功能,同时监测并管理药物不良反应;若出现无法耐受的不良反应,应及时调整维持期治疗方案<sup>[41,48-49]</sup>(1c,强推荐)。

**推荐意见 32:**当使用抗体类药物,且非甾体免疫抑制剂、皮质类固醇和抗胆碱酯酶的治疗剂量降低或停药时,应密切监测患者的疾病恶化体征<sup>[20-21]</sup>(5a,弱推荐)。

**推荐意见 33:**使用依库珠单抗进行治疗时,需密切监测脑膜炎球菌感染的早期症状与体征;若疑似出现感染情况,应立即展开评估(1c,强推荐)。

## 2.9 超说明书用药

**推荐意见 34:**需严格评估超说明书用药指征,仅在

确诊为重症肌无力,且对一线治疗(如糖皮质激素、胆碱酯酶抑制剂、传统免疫抑制剂)效果不佳、不耐受或出现严重复发,同时已获批适应证的抗体类药物无法满足治疗需求时,才可考虑超说明书用药<sup>[28-29]</sup>(5a,弱推荐)。

**推荐意见 35:**规范知情同意与伦理流程——用药前需向患者及其家属充分告知超说明书用药的目的、潜在疗效、风险(如感染风险、免疫抑制相关并发症)、替代方案以及监测计划,并签署知情同意书<sup>[50-51]</sup>(5a,弱推荐)。

**推荐意见 36:**全程监测与个体化调整——用药期间,需定期对血常规、肝肾功能、免疫指标(如免疫球蛋白G)以及感染相关指标(如巨细胞病毒、EB病毒载量)进行监测;每4~8周进行重症肌无力临床评估(如重症肌无力-ADL评分)<sup>[29]</sup>(5a,弱推荐)。

**推荐意见 37:**除本共识所纳入的已获批重症肌无力相关适应证的4种药品外,利妥昔单抗虽尚未获得适应证批准,但在临床实践中可用于填补治疗空白,推荐用于抗AChR抗体或抗MuSK抗体阳性的难治性全身型重症肌无力患者,尤其是合并胸腺异常或B细胞异常活化的患者<sup>[20,52-56]</sup>(1c,弱推荐)。

## 3 结语

本共识以循证医学为核心方法,通过系统性检索高质量研究证据,并结合改良德尔非法开展专家论证,将不同等级的循证证据转化为具备明确推荐强度的临床实践建议。这不仅保障了推荐内容的科学性与严谨性,还解决了此前治疗重症肌无力的抗体类药物临床应用循证依据零散、用药决策缺乏统一标准这一关键难题,为临床精准用药及全流程风险防控提供了坚实的循证支撑。该共识可用于指导各级医疗机构的临床实践,为实现患者治疗获益最大化以及长期慢病管理奠定了坚实的药学基础。同时,本共识还填补了国内神经免疫罕见病生物制剂药学管理循证规范的空白,为同类疾病与药物的临床药学实践提供了可复制的标准化样板,有助于我国罕见病诊疗与药学管理水平的整体提高。

需要重点关注的是,本领域的持续发展对循证证据的动态更新提出了明确要求。鉴于治疗重症肌无力的抗体类药物研发与临床研究仍处于快速发展阶段,且部分推荐意见仍缺乏大样本、高质量的中国本土人群研究数据,因此亟须建立共识常态化证据跟踪与定期更新机制,持续纳入全球最新高质量研究成果,补充特殊人群用药、药物基因检测、长期用药安全等领域的循证证据,不断完善推荐内容、提升证据等级,始终为临床实践提供科学、前沿、可及的循证指引。

(利益冲突:所有参与本共识制定的专家均签署了利益冲突声明,不存在任何利益冲突)

## 共识专家组成员

### 共识发起人:

李正翔(天津医科大学总医院)

### 共识撰稿人:

段 蓉(天津医科大学总医院)

### 共识指导组:

左笑丛(中南大学湘雅三医院),赵荣生(北京大学第三医院),侯锐钢(山西医科大学第二医院),杨春生(天津医科大学总医院),乞国艳(石家庄人民医院)

### 共识制定组(按姓氏笔画排序):

于倩(吉林大学中日联谊医院),王卓(海军军医大学第一附属医院/上海长海医院),王雷(河南省人民医院),史琛(华中科技大学同济医学院附属协和医院),田仰华(安徽医科大学第二附属医院),白银亮(兰州大学第二医院),卢海儒(青海省人民医院),左兴盛(河南省人民医院),伍俊妍(中山大学孙逸仙纪念医院),任艳丽(郑州大学第三附属医院),刘安昌(山东大学齐鲁医院),刘国强(河北医科大学第三医院),刘茂柏(福建医科大学附属协和医院),刘涛(巴音郭楞蒙古自治州人民医院),刘娟(哈尔滨医科大学附属第二医院),刘耀(陆军特色医学中心),师少军(华中科技大学同济医学院附属协和医院),李正翔(天津医科大学总医院),李妍(山东第一医科大学第一附属医院/山东省千佛山医院),李学林(河南中医药大学第一附属医院),李莎(内蒙古自治区人民医院),李晋奇(四川省医学科学院·四川省人民医院),李晓宇(复旦大学附属中山医院),李莹(郑州大学第一附属医院),李静(青岛大学附属医院),吴晖(昆明医科大学第一附属医院),杨建华(新疆医科大学第一附属医院),杨周生(广西壮族自治区人民医院),沈承武(山东第一医科大学附属省立医院/山东省立医院),宋玮(天津市第五中心医院),张弋(天津市第一中心医院),张四喜(吉林大学白求恩第一医院),张志清(河北医科大学第二医院),张吟(福建医科大学附属第二医院),张宝荣(浙江大学医学院附属第二医院),张洁(天津市肿瘤医院),张惠娟(天津市人民医院),张毅(天津市环湖医院),陈伟(中国医学科学院肿瘤医院),陈孝(中山大学附属第一医院),陈琦(贵州省人民医院),孟丽华(中国药师协会),尚茂林(蚌埠医学院第二附属医院),罗旭飞(兰州大学基础医学院循证医学中心),金鹏飞(北京医院),赵青威(浙江大学医学院附属第一医院),段蓉(天津医科大学总医院),郝志英(山西省肿瘤医院),胡幼红(郑州大学第一附属医院),胡锦涛(南昌大学第一附属医院),封卫毅(西安交通大学第一附属医院),夏泉(安徽医科大学第一附属医院),徐珽(四川大

学华西医院),栾家杰(海南医科大学第二附属医院),郭春宏(天津医科大学总医院),海鑫(哈尔滨医科大学附属第一医院),谈颂(四川省医学科学院·四川省人民医院),菅凌燕(中国医科大学附属盛京医院),曹力(南昌大学第一附属医院),董得时(大连医科大学附属第一医院),程宗琦(苏州大学附属第一医院),蔡本志(哈尔滨医科大学附属第二医院)

### 共识工作组(按姓氏笔画排序):

王丽亮(天津医科大学总医院),吴佳瑶(天津医科大学总医院),张涵煦(天津医科大学总医院),彭龙希(天津医科大学总医院)

### 参考文献

- [1] LAZARIDIS K, TZARTOS S J. Autoantibody specificities in myasthenia gravis; implications for improved diagnostics and therapeutics[J]. *Front Immunol*, 2020, 11:212.
- [2] HUANG E J, WU M H, WANG T J, et al. Myasthenia gravis: novel findings and perspectives on traditional to regenerative therapeutic interventions[J]. *Aging Dis*, 2023, 14(4):1070-1092.
- [3] 欧瑞阳. 重症肌无力发病和治疗情况概述及抗体类药物应用研究进展[J]. *中国医药*, 2024, 19(6):928-932.
- [4] CARR A S, CARDWELL C R, MCCARRON P O, et al. A systematic review of population based epidemiological studies in myasthenia gravis[J]. *BMC Neurol*, 2010, 10:46.
- [5] HELDAL A T, OWE J F, GILHUS N E, et al. Seropositive myasthenia gravis: a nationwide epidemiologic study [J]. *Neurology*, 2009, 73(2):150-151.
- [6] JARETZKI A 3rd, BAROHN R J, ERNSTOFF R M, et al. Myasthenia gravis: recommendations for clinical research standards. Task force of the medical scientific advisory board of the myasthenia gravis foundation of America[J]. *Ann Thorac Surg*, 2000, 70(1):327-334.
- [7] 中国免疫学会神经免疫分会. 中国重症肌无力诊断和治疗指南:2020版[J]. *中国神经免疫学和神经病学杂志*, 2021, 28(1):1-12.
- [8] QUEROL L, ILLA I. Myasthenia gravis and the neuromuscular junction[J]. *Curr Opin Neurol*, 2013, 26(5):459-465.
- [9] MENON D, BRIL V. Pharmacotherapy of generalized myasthenia gravis with special emphasis on newer biologicals [J]. *Drugs*, 2022, 82(8):865-887.
- [10] MENON D, URRÁ PINCHEIRA A, BRIL V. Emerging drugs for the treatment of myasthenia gravis[J]. *Expert Opin Emerg Drugs*, 2021, 26(3):259-270.
- [11] DALAKAS M C. Future perspectives in target-specific

- immunotherapies of myasthenia gravis[J]. *Ther Adv Neurol Disord*, 2015, 8(6):316-327.
- [12] GWATHMEY K G, DING H H, HEHIR M, et al. How should newer therapeutic agents be incorporated into the treatment of patients with myasthenia gravis [J]. *Muscle Nerve*, 2024, 69(4):389-396.
- [13] 李荣, 范月蕾, 赵晓勤, 等. 新药研发进展与发展态势分析[J]. *生命科学*, 2025, 37(1):86-96.
- [14] 李东巧, 陈芳, Cynthia Liu, 等. 全球抗体药物研发态势分析[J]. *中国生物工程杂志*, 2019, 39(5):11-21.
- [15] CARTER P J, LAZAR G A. Next generation antibody drugs: pursuit of the 'high-hanging fruit' [J]. *Nat Rev Drug Discov*, 2018, 17(3):197-223.
- [16] SHIN C, KIM S S, JO Y H. Extending traditional antibody therapies: novel discoveries in immunotherapy and clinical applications[J]. *Mol Ther Oncolytics*, 2021, 22:166-179.
- [17] 袁曼, 阚鸿蛟, 吴倩, 等. 艾加莫德治疗全身型重症肌无力有效性及安全性的Meta分析[J]. *中国新药与临床杂志*, 2025, 44(5):368-374.
- [18] 黄格日勒, 栗玉杰, 张文静, 等. 艾加莫德 $\alpha$ 治疗全身型重症肌无力的快速卫生技术评估[J]. *药物流行病学杂志*, 2024, 33(10):1156-1163.
- [19] SACCÀ F, PANE C, ESPINOSA P E, et al. Efficacy of innovative therapies in myasthenia gravis: a systematic review, meta-analysis and network meta-analysis[J]. *Eur J Neurol*, 2023, 30(12):3854-3867.
- [20] WIENDL H, ABICHT A, CHAN A, et al. Guideline for the management of myasthenic syndromes[J]. *Ther Adv Neurol Disord*, 2023, 16:17562864231213240.
- [21] GILHUS N E, ANDERSEN H, ANDERSEN L K, et al. Generalized myasthenia gravis with acetylcholine receptor antibodies: a guidance for treatment[J]. *Eur J Neurol*, 2024, 31(5):e16229.
- [22] 中国罕见病联盟神经罕见病专业委员会, 中国罕见病联盟重症肌无力协作组, 中华医学会神经病学分会神经肌肉病学组. 中国难治性全身型重症肌无力诊断和治疗专家共识: 2024版[J]. *中华神经科杂志*, 2024, 57(8):840-847.
- [23] 罗苏珊, 周昊, 岳耀先, 等. 重症肌无力危象前状态管理专家共识: 2024[J]. *中国临床神经科学*, 2024, 32(3):241-251.
- [24] 李志军, 罗苏珊, 岳耀先, 等. FcRn拮抗剂治疗成人全身型重症肌无力临床应用的专家建议: 2024[J]. *中国临床神经科学*, 2025, 33(1):1-9.
- [25] CHENG J J, WANG F Q, DAI Z Y, et al. The efficacy and safety of efgartigimod for refractory myasthenia gravis: a systematic review and meta-analysis[J]. *Eur J Med Res*, 2025, 30(1):775.
- [26] SIDDIQI Z A, NOWAK R J, MOZAFFAR T, et al. Eculizumab in refractory generalized myasthenia gravis previously treated with rituximab: subgroup analysis of REGAIN and its extension study[J]. *Muscle Nerve*, 2021, 64(6):662-669.
- [27] JACOB S, MURAI H, UTSUGISAWA K, et al. Response to eculizumab in patients with myasthenia gravis recently treated with chronic IVIg: a subgroup analysis of REGAIN and its open-label extension study[J]. *Ther Adv Neurol Disord*, 2020, 13:1756286420911784.
- [28] NARAYANASWAMI P, SANDERS D B, WOLFE G, et al. International consensus guidance for management of myasthenia gravis: 2020 update[J]. *Neurology*, 2021, 96(3):114-122.
- [29] 李柱一. 中国重症肌无力诊断和治疗指南: 2015年简版[C]//中华医学会第十八次全国神经病学学术会议论文集. 成都, 2015:222-223.
- [30] HABIB A A, SACCONI S, ANTONINI G, et al. Efficacy and safety of rozanolixizumab in patients with muscle-specific tyrosine kinase autoantibody-positive generalised myasthenia gravis: a subgroup analysis of the randomised, double-blind, placebo-controlled, adaptive phase III Mycarin G study[J]. *Ther Adv Neurol Disord*, 2024, 17:17562864241273036.
- [31] LI J X, WU X, CHU T C, et al. The efficacy and safety of FcRn inhibitors in patients with myasthenia gravis: a systematic review and meta-analysis[J]. *J Neurol*, 2024, 271(5):2298-2308.
- [32] HEO Y A. Efgartigimod alfa in generalised myasthenia gravis: a profile of its use[J]. *CNS Drugs*, 2023, 37(5):467-473.
- [33] HABIB A A, CLAEYS K G, BRIL V, et al. ADAPT NXT: fixed cycles or every-other-week IV efgartigimod in generalized myasthenia gravis[J]. *Ann Clin Transl Neurol*, 2025, 12(6):1162-1170.
- [34] GATAULT P, BRACHET G, TERNANT D, et al. Therapeutic drug monitoring of eculizumab: rationale for an individualized dosing schedule[J]. *MAbs*, 2015, 7(6):1205-1211.
- [35] GALBUSERA M, NORIS M, GASTOLDI S, et al. An *ex vivo* test of complement activation on endothelium for individualized eculizumab therapy in hemolytic uremic syndrome[J]. *Am J Kidney Dis*, 2019, 74(1):56-72.

- [36] Argenx Canada Inc..Efgartigimod alfa (vyvgart): CADTH reimbursement review: therapeutic area: generalized myasthenia gravis [internet][J]. CJHT, 2024, 4(4):121-126.
- [37] SACCÀ F, BARNETT C, VU T, et al. Efgartigimod improved health-related quality of life in generalized myasthenia gravis: results from a randomized, double-blind, placebo-controlled, phase 3 study (ADAPT)[J]. J Neurol, 2023, 270(4):2096-2105.
- [38] 中华医学会神经病学分会神经免疫学组, 中国免疫学会神经免疫分会. 多发性硬化诊断和治疗中国专家共识: 2011版[J]. 中华神经科杂志, 2012, 45(4):274-280.
- [39] SMITH B, KIESSLING A, LLEDO-GARCIA R, et al. Generation and characterization of a high affinity anti-human FcRn antibody, rozanolixizumab, and the effects of different molecular formats on the reduction of plasma IgG concentration[J]. MAbs, 2018, 10(7):1111-1130.
- [40] LLEDO-GARCIA R, DIXON K, SHOCK A, et al. Pharmacokinetic-pharmacodynamic modelling of the anti-FcRn monoclonal antibody rozanolixizumab: translation from preclinical stages to the clinic[J]. CPT Pharmacometrics Syst Pharmacol, 2022, 11(1):116-128.
- [41] HABIB A A, DRUŽDŽ A, GROSSKREUTZ J, et al. Long-term safety of cyclical rozanolixizumab in patients with generalized myasthenia gravis: results from the phase 3 MycarinG study and an open-label extension[J]. J Neuromuscul Dis, 2025, 12(2):231-243.
- [42] PEIXOTO V P, PRUDÊNCIO C, VIEIRA M, et al. Evaluation of the impact of two C5 genetic variants on C5-eculizumab complex stability at the molecular level[J]. J Biomol Struct Dyn, 2025, 43(17):9632-9641.
- [43] NISHIMURA J I, YAMAMOTO M, HAYASHI S, et al. Genetic variants in C5 and poor response to eculizumab [J]. N Engl J Med, 2014, 370(7):632-639.
- [44] FISSE A L, SCHÄFER E, HIEKE A, et al. Association of the neonatal Fc receptor promoter variable number of tandem repeat polymorphism with immunoglobulin response in patients with chronic inflammatory demyelinating polyneuropathy[J]. Eur J Neurol, 2024, 31(4):e16205.
- [45] PASSOT C, AZZOPARDI N, RENAULT S, et al. Influence of FCGRT gene polymorphisms on pharmacokinetics of therapeutic antibodies[J]. MAbs, 2013, 5(4):614-619.
- [46] DALAKAS M C, SPAETH P J. The importance of FcRn in neuro-immunotherapies: from IgG catabolism, FCGRT gene polymorphisms, IVIg dosing and efficiency to specific FcRn inhibitors[J]. Ther Adv Neurol Disord, 2021, 14:1756286421997381.
- [47] VAKRAKOU A G, KARACHALIOU E, CHRONI E, et al. Immunotherapies in MuSK-positive myasthenia gravis; an IgG4 antibody-mediated disease[J]. Front Immunol, 2023, 14:1212757.
- [48] GUPTILL J T, YI J S, SANDERS D B, et al. Characterization of B cells in muscle-specific kinase antibody myasthenia gravis[J]. Neurol Neuroimmunol Neuroinflamm, 2015, 2(2):e77.
- [49] MURAI H. The Japanese clinical guidelines 2022 for myasthenia gravis and Lambert-Eaton myasthenic syndrome: an overview[J]. Brain Nerve, 2024, 76(1):7-12.
- [50] 中国药学会医院药专业委员会, 中国抗癌协会肿瘤临床化疗专业委员会. 抗体偶联药物安全性跨学科管理中国专家共识[J]. 中国医院药学杂志, 2023, 43(1):1-10,60.
- [51] 唐雪莲, 吴爵, 李晓彦, 等. 药品超说明书应用伦理审查争议及监管路径探析[J]. 医学与哲学, 2025, 46(4):30-33.
- [52] VESPERINAS-CASTRO A, CORTÉS-VICENTE E. Rituximab treatment in myasthenia gravis[J]. Front Neurol, 2023, 14:1275533.
- [53] PIEHL F, ERIKSSON-DUFVA A, BUDZIANOWSKA A, et al. Efficacy and safety of rituximab for new-onset generalized myasthenia gravis: the RINOMAX randomized clinical trial[J]. JAMA Neurol, 2022, 79(11):1105-1112.
- [54] RAMDAS S, DELLA MARINA A, RYAN M M, et al. Rituximab in juvenile myasthenia gravis-an international cohort study and literature review[J]. Eur J Paediatr Neurol, 2022, 40:5-10.
- [55] INAN B, ORHAN I G, BEKIRCAN-KURT C E, et al. Clinical and laboratory remission with rituximab in anti-MuSK-positive myasthenia gravis[J]. Ir J Med Sci, 2024, 193(6):2989-2994.
- [56] 张幸国, 林能明, 赵青威, 等. 利妥昔单抗超说明书用药专家共识[J]. 中国现代应用药学, 2024, 41(16):2298-2310.

(收稿日期:2026-02-15 修回日期:2026-04-21)

(编辑:舒安琴)