Neurology Perspectives. 2023;3(S1):225

Neurology perspectives

19362 - Eficacia y seguridad a las 104 semanas de cipaglucosidasa alfa + miglustat en pacientes con enfermedad de Pompe de inicio tardío previamente tratados con alglucosidasa alfa

Díaz Manera, J.[1]; Bratkovic, D.[2]; Byrne, B.[3]; Claeys, K.[4]; Kishnani, P.[5]; Laforêt, P.[6]; Mozaffar, T.[7]; Roberts, M.[8]; Toscano, A.[9]; Castelli, J.[10]; Goldman, M.[11]; Jiang, H.[12]; Sitaraman Das, S.[13]; Wasfi, Y.[14]; Schoser, B.[15]; Alonso, J.[16]

[1]John Walton Muscular Dystrophy Research Centre. Newcastle University; [2]PARC Research Clinic. Royal Adelaide Hospital; [3] Powell Gene Therapy Center. University of Florida; [4]Department of Neurology. University Hospitals Leuven; [5]Duke University Medical Center. Duke University; [6]Nord-Est/Ile-de-France Neuromuscular Reference Center, Neurology Department. Raymond-Poincaré Hospital; [7]Department of Neurology. University of California; [8]Servicio de Neurology. Salford Royal NHS Foundation Trust; [9]Neurology and Neuromuscular Disorders Unit, Department of Clinical and Experimental Medicine. Università di Messina; [10] Chief Development Officer. Amicus Therapeutics, Inc.; [11]Chief Medical Officer. Amicus Therapeutics, Inc.; [12]Head of Biostatistics and Programming. Amicus Therapeutics, Inc.; [13]Vice President, Program Management. Amicus Therapeutics, Inc.; [14]Vice President, Clinical Research. Amicus Therapeutics, Inc.; [15]Friedrich-Baur-Institut, Neurologische Klinik. Ludwig-Maximilians-Universität München; [16]Unidad de Enfermedades Neuromusculares. Servicio de Neurología. En nombre del Grupo de estudio ATB200-07. Complejo Hospital Universitario Nuestra Sra. de Candelaria.

Resumen

Objetivos: El estudio PROPEL, fase III, doble ciego (NCT03729362) comparó la terapia de sustitución enzimática (TSE) cipaglucosidasa alfa + miglustat (cipa + mig) a alglucosidasa alfa + placebo (alg + pbo) en adultos con enfermedad de Pompe de inicio tardío (LOPD). Su extensión abierta (OLE) (ATB200-07; NCT04138277) evalúa eficacia y seguridad a largo plazo de cipa + mig. Este análisis evaluó pacientes tratados con alg antes del PROPEL.

Material y métodos: Los resultados incluyen 6MWD (del inglés, *6 minute walking distance*), capacidad vital forzada (CVF), test muscular manual (TMM), niveles de creatina cinasa (CK) y hexosa tetrasacárido (Hex4) y seguridad. Los datos se describen como cambio desde basal de PROPEL hasta semana 52 del OLE (104 semanas).

Resultados: De los 119 pacientes del OLE, 91 recibieron TSE antes del PROPEL (mediana de tratamiento 7,4 años); 62 continuaron cipa + mig y 29 cambiaron de alg + pbo en PROPEL a cipa + mig (grupo de cambio). El cambio medio (desviación estándar [DE]) en % previsto de 6MWD y de CVF fue +3,1 (8,1) y ?0,6 (7,5) en el grupo cipa + mig y ?0,5 (7,8) y ?3,8 (6,2) en el grupo de cambio, respectivamente. El TMM en extremidades inferiores mejoró +1,6 (4,6) en el grupo cipa + mig y +1,5 (2,9) en el de cambio. Los biomarcadores (CK y Hex4) aumentaron en ambos grupos. No hubo nuevas señales de seguridad.

Conclusión: El cambio de alg a cipa + mig se asoció a efectos duraderos hasta 104 semanas y fue bien tolerado, respaldando los beneficios a largo plazo de cipa + mig en pacientes LOPD.

Financiado por Amicus Therapeutics, Inc.

2667-0496 / © 2023, Elsevier España S.L.U. y Sociedad Española de Neurología (SEN). Todos los derechos reservados.