



## 20947 - ANÁLISIS DEL TAMAÑO DEL EFECTO DE CIPAGLUCOSIDASA ALFA MÁS MIGLUSTAT FRENTE A ALGLUCOSIDASA-ALFA EN ADULTOS CON ENFERMEDAD DE POMPE DE INICIO TARDÍO PRETRATADOS CON TERAPIA DE SUSTITUCIÓN ENZIMÁTICA

Aguinaga-Barrilero, A.<sup>1</sup>; Alonso Pérez, J.<sup>2</sup>; Bratkovic, D.<sup>3</sup>; Byrne, B.<sup>4</sup>; Claeys, K.<sup>5</sup>; Clemens, P.<sup>6</sup>; Díaz Manera, J.<sup>7</sup>; Dimachkie, M.<sup>8</sup>; Kishnani, P.<sup>9</sup>; Kushlaf, H.<sup>10</sup>; Roberts, M.<sup>11</sup>; Toscano, A.<sup>12</sup>; Castelli, J.<sup>1</sup>; Holdbrook, F.<sup>1</sup>; Sitaraman Das, S.<sup>1</sup>; Mozaffar, T.<sup>13</sup>; Schoser, B.<sup>14</sup>

<sup>1</sup>Amicus Therapeutics; <sup>2</sup>Servicio de Neurología. Complejo Hospital Universitario Nuestra Señora de Candelaria; <sup>3</sup>PARC Research Clinic. Royal Adelaide Hospital; <sup>4</sup>School of Medicine. University of Florida; <sup>5</sup>Department of Neurology. University Hospitals Leuven. Department of Neurosciences. Laboratory for Muscle Diseases and Neuropathies. KU Leuven. Leuven Brain Institute; <sup>6</sup>Department of Neurology. University of Pittsburgh School of Medicine. VA Pittsburgh Healthcare System; <sup>7</sup>Servicio de Neurología. John Walton Muscular Dystrophy Research Centre, Newcastle University; <sup>8</sup>Department of Neurology. University of Kansas Medical Center; <sup>9</sup>Servicio de Neurogenética. Duke University Medical Center; <sup>10</sup>Department of Neurology & Rehabilitation Medicine. University of Cincinnati College of Medicine; <sup>11</sup>Salford Royal NHS Foundation Trust; <sup>12</sup>ERN-NMD Center for Neuromuscular Disorders of Messina. Department of Clinical and Experimental Medicine. University of Messina; <sup>13</sup>Department of Neurology. University of California; <sup>14</sup>Department of Neurology. Friedrich-Baur-Institute. LMU University Hospital.

### Resumen

**Objetivos:** Estudio aleatorizado doble ciego PROPEL (NCT03729362) comparó eficacia y seguridad del tratamiento cipaglucosidasa alfa más miglustat (cipa + mig) con alglucosidasa alfa más placebo (alg) en adultos LOPD. Se analizó el tamaño del efecto de cipa + mig y alg para resultados de eficacia en pacientes LOPD pretratados con TSE.

**Material y métodos:** Se calculó el tamaño del efecto estandarizado dentro del grupo (d de Cohen para mediciones correlacionadas, desde inicio hasta semana 52) para resultados de función motora y pulmonar, fuerza muscular, calidad de vida y biomarcadores, dividiendo el cambio medio desde basal por las desviaciones estándar de diferentes puntuaciones.

**Resultados:** 77% (95/123) de pacientes PROPEL habían recibido alg antes (mediana: 7,4 años). Los pacientes de alg (n = 30) mostraron empeoramiento (d ? -0,2) o estabilidad (-0,2 d 0,2) o estabilidad. Los pacientes de alg mostraron empeoramiento estadísticamente significativo de capacidad vital forzada en sedestación y decúbito supino, capacidad vital lenta, presión espiratoria máxima y niveles de creatina cinasa (CK) y tetrasacárido de hexosa (Hex4), con solo mejoría significativa en la disnea de los PROMIS. Los pacientes cipa + mig no mostraron empeoramiento significativo y sí mejorías significativas en distancia caminada en 6 minutos, pruebas musculares manuales, puntuación de fatiga de los PROMIS, Impresión Clínica Global de Médico y Paciente, CK y Hex4.

**Conclusión:** Los pacientes con LOPD pretratados con TSE del grupo cipa + mig alcanzaron mejorías en múltiples resultados, evidenciando beneficios potenciales de esta terapéutica. Con apoyo de Amicus Therapeutics, Inc.