



21905 - MEJORÍAS CLÍNICAMENTE IMPORTANTES EN LA CAMINATA DE 6 MINUTOS Y LA CAPACIDAD VITAL FORZADA EN ADULTOS CON POMPE DE INICIO TARDÍO QUE CAMBIARON DE ALGLUCOSIDASA ALFA A CIPAGLUCOSIDASA ALFA MÁS MIGLUSTAT

Alonso Pérez, J.¹; Hummel, N.²; A. Kushlaf, H.³; Wenninger, S.⁴; Schoser, B.⁴; Clarke, S.⁵; Crabtree, M.⁵; Escribano Díaz, C.⁶; Fox, B.⁷; Glöeckner, B.⁸; K. Holdbrook, F.⁷; Jain, V.⁷; Peceny, M.⁸; G. Claeys, K.⁹

¹Servicio de Neurología. Complejo Hospital Universitario Nuestra Señora de Candelaria; ²Certara GmbH; ³Department of Neurology & Rehabilitation Medicine. University of Cincinnati College of Medicine; ⁴Department of Neurology. Friedrich-Baur-Institute. Ludwig-Maximilians-University Hospital; ⁵Amicus Therapeutics Ltd; ⁶Amicus Therapeutics SLU; ⁷Amicus Therapeutics, Inc.; ⁸Amicus Therapeutics GmbH; ⁹Department of Neurology. University Hospitals Leuven.

Resumen

Objetivos: Utilizamos diferencias mínimas clínicamente importantes (DMCI) publicadas para la caminata de 6 minutos (6MWD) y la capacidad vital forzada (CVF), en enfermedad de Pompe de inicio tardío (LOPD), para determinar la proporción de pacientes con cambios mayores.

Material y métodos: En PROPEL de 52 semanas (NCT03729362), los pacientes en tratamiento previo cambiaron a cipaglucosidasa alfa + miglustat (cipa + mig) o permanecieron en alglucosidasa alfa (alg). Para 6MWD, utilizamos DMCI estratificadas en función del estado basal, basadas en: método de anclaje (cambios en 6MWD de pacientes con mejoría del bienestar físico general valorado por el paciente); o en la distribución ($\frac{1}{2}$ desviación estándar del 6MWD basal). Para CVF, utilizamos un umbral predefinido de $\pm 3\%$.

Resultados: Por análisis de 6MWD anclado, el porcentaje de pacientes con mejoría fue mayor con cipa + mig versus alg (29,2 vs. 13,3%); el porcentaje de pacientes con empeoramiento fue menor (12,3 vs. 26,7%). El análisis de distribución de cipa + mig versus alg mostró la misma tendencia (porcentaje de pacientes con mejoría: 33,8 vs. 13,3%; empeoramiento: 7,7 vs. 13,3%). Para CVF, el porcentaje de pacientes con mejoría fue 27,7 vs. 0,0% y con empeoramiento fue 27,7 vs. 53,3%, para cipa + mig vs. alg. Utilizando DMCI de distribución para 6MWD y $\pm 3\%$ para CVF, el % de pacientes con mejoría en 6MWD y/o CVF fue 50,8 vs. 13,3%, para cipa + mig vs. alg, mientras que hubo empeoramiento en 30,8 vs. 56,7%, respectivamente.

Conclusión: Este análisis sugiere que los adultos LOPD que cambian de alg a cipa + mig tienen mayor probabilidad de experimentar mejorías clínicamente relevantes en función motora y respiratoria que aquellos que permanecen en alg. Estudio apoyado por Amicus Therapeutics, Inc.