



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

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