



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

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