

Élargir les horizons pour les patients atteints de la maladie de Pompe : Utiliser les données pour guider la pratique clinique



Prof. Tahseen Mozaffar
École de médecine de l'UCI
Irvine, CA, USA



Dr Jennifer L Cohen
Université de Duke
Durham, NC, USA



Prof. Benedikt Schoser
Université Ludwig-Maximilians
de Munich, Allemagne

Enregistré à la suite du 29ème congrès annuel de la société mondiale du muscle, Prague, Tchéquie, 8–12 octobre 2024,
et du 21ème *Symposium* WORLD annuel de San Diego, CA, USA, 3–7 février 2025

Clause de non-responsabilité

- Les produits non approuvés ou les utilisations non approuvées de produits approuvés peuvent être discutés par la faculté ; ces situations peuvent refléter le statut d'approbation dans une ou plusieurs juridictions
- L'USF Health et touchIME ont conseillé aux enseignants de s'assurer qu'ils divulguent toute référence à une utilisation non étiquetée ou non approuvée
- La mention de ces produits ou utilisations dans les activités d'USF Health et de touchIME n'implique en aucun cas l'approbation par USF Health ou touchIME de produits ou d'utilisations non approuvés
- USF Health et touchIME déclinent toute responsabilité en cas d'erreur ou d'omission

Traiter la maladie de Pompe à long terme et dans le monde réel

Prof. Tahseen Mozaffar
École de médecine de l'UCI
Irvine, CA, USA



Enregistré à la suite du 29ème congrès annuel de la société mondiale du muscle, Prague, Tchéquie, 8–12 octobre 2024,
et du 21ème *Symposium* WORLD annuel de San Diego, CA, USA, 3–7 février 2025

119 : Étude de cohorte rétrospective évaluant la charge de morbidité des patients atteints de la maladie de Pompe traités par ERT aux États-Unis

Pillai NR, et al.



Cohorte de patients

N=105 IOPD : n=50 LOPD : n=55

Comorbidités intéressantes

	Respiratoire	Ambulatoire	GI	CV
IOPD	84,5 %	57,4 %	67,8 %	16,9 %
LOPD	79,4 %	54,3 %	33,4 %	28,7 %

L'incidence cumulée de la plupart des comorbidités, en particulier des infections respiratoires, a augmenté avec le temps

Modes d'utilisation de l'ERT

	IOPD	LOPD
Abandon du 1er ERT après 12 mois	35,3 %	33,0 %
Abandon du 1er ERT après 24 mois	48,7 %	54,5 %
Changement de la dose d'ERT	42,4 %	20,6 %
Diminution de la dose d'ERT	36,4 %	14,7 %
Augmentation de la dose d'ERT	14,7 %	17,6 %

Utilisation de services de palliatifs/thérapeutiques

	ITI/IVIg	Ambulatoire	Respiratoire	Professionnel	Élocution	Nutritionnel	Physique
IOPD	48,6 %	8,3 %	15,1 %	27,8 %	59,5 %	47,3 %	66,9 %
LOPD	1,8 %	11,1 %	17,0 %	3,7 %	3,9 %	11,2 %	31,8 %

Le recours à l'ergothérapie, à l'orthophonie et à la kinésithérapie a augmenté au fil du temps dans les deux groupes

La maladie de Pompe entraîne une charge de morbidité importante pour les patients malgré une thérapie d'urgence standard, ce qui indique que des traitements alternatifs sont nécessaires

331 : Étude de cohorte rétrospective évaluant le poids économique des patients atteints de la maladie de Pompe traités par ERT aux États-Unis

Steiner RD, et al.



Cohorte de patients

N=105 IOPD : n=50 LOPD : n=55

Utilisation des ressources de santé, en %

	IOPD	LOPD
Ont utilisé ≥1 services ambulatoires	94,0	89,1
A nécessité ≥1 hospitalisation toutes causes confondues	46	29
Nécessité ≥1 hospitalisation liée à la maladie de Pompe	44	24

Moyenne, n

	IOPD	LOPD
Visites ambulatoires toutes causes confondues PMPM	8,7	3,9
Visites ambulatoires liées à la maladie de Pompe PMPM	5,2	1,7

Coûts des soins de santé :

	IOPD	LOPD
Toutes causes confondues (total)	950 380 \$	1 857 823 \$
Toutes causes confondues (PMPM)	31 658 \$	56 615 \$
Pharmacie ERT (total)	211 536 \$	566 938 \$
Pharmacie ERT (PMPM)	7 046 \$	17 277 \$
Liées à la maladie de Pompe* (total)	804 918 \$	1 329 693 \$
Liées à la maladie de Pompe* (PMPM)	25 999 \$	39 344 \$

La majorité des coûts étaient liés aux soins ambulatoires

La maladie de Pompe représente une charge économique substantielle pour les patients traités par ERT, principalement en raison des consultations externes et des coûts de prescription de l'ERT, ce qui souligne la nécessité de nouveaux traitements moins coûteux

*Les coûts des soins de santé liés à Pompe comprennent les frais de consultation externe, d'hospitalisation et de prescription.
ERT, enzymothérapie de substitution ; IOPD, maladie de Pompe infantile ; LOPD, maladie de Pompe tardive ; PMPM, par membre et par mois.
Steiner RD, et al. Présenté au 21e Symposium annuel WORLD 2025. San Diego, CA, USA. 3-7 février 2025. Extr. 331.

248 : Maladie de Pompe en Suède : Une étude de données réelles sur la charge de morbidité, les schémas de traitement par ERT et les médicaments concomitants

Nordin S, et al.

Aperçu des schémas de traitement dans une cohorte suédoise

	LOPD (n=14)	IOPD (n=5)
Prévalence de la maladie au CSTP, pour 1 million	1,3	0,5
Âge moyen au moment du diagnostic, années (SD)	43,2 (22,3)	0,5 (0,5)
Durée moyenne entre l'apparition des symptômes et le diagnostic, en années (SD)	9,5 (13,5)	*
Durée médiane entre l'apparition des symptômes et le diagnostic, en années (IQR)	5,4 (2,3–8,2)	*
Durée médiane entre le diagnostic et le début du traitement par ERT, en années (IC à 95 %)	1,5 (0,5–16,6)	*

Chez les patients atteints de LOPD (n=14) :



recevant des médicaments concomitants pour la gestion des troubles respiratoires

6 patients

ventilation/autre gestion respiratoire nécessaire

âge au premier besoin

62,8 ans



Diagnostics antérieurs à la LOPD

71 % Symptômes, signes et résultats cliniques/biologiques anormaux non classés par ailleurs

53 % Maladies endocriniennes, nutritionnelles et métaboliques

53 % Maladies du système nerveux

41 % Maladies de l'appareil respiratoire



LOPD (n=9) : 20 mg/kg (dose standard)
IOPD (n=5) : 24,0 mg/kg (SD ±8,9)
(maximum 40,0 mg/kg)

*Non indiqué dans l'extrait publié. CSTP, point temporel transversal ; ERT, enzymothérapie de substitution ; IC, intervalle de confiance ; IOPD, maladie de Pompe infantile ; IQR, intervalle interquartile ; LOPD, maladie de Pompe tardive ; SD, écart-type. Nordin S, et al. Présenté au 21e Symposium annuel WORLD 2025. San Diego, CA, USA. 3–7 février 2025. Extr. 248.

225 : POM-005: Un registre mondial, prospectif et observationnel de personnes vivant avec la maladie de Pompe

McIntosh P, et al.



POM-005 (NCT06121011) : Un registre mondial, prospectif et observationnel pour évaluer les résultats cliniques chez les personnes atteintes de la maladie de Pompe, quel que soit le statut thérapeutique actuel ou antérieur

Critères d'inclusion



Personnes atteintes d'IOPD ou de LOPD sur la base d'un déficit enzymatique en GAA documenté et/ou d'un génotypage de la GAA, quel que soit le temps écoulé depuis le diagnostic



Données provenant d'une cohorte à long terme de patients de CIPA + MIG dans le cadre d'essais cliniques/de programmes d'accès rapide ayant poursuivi le traitement après l'approbation



Inéligibles : Patients recevant actuellement un traitement expérimental pour la maladie de Pompe dans le cadre d'un essai clinique, d'un programme d'utilisation compassionnelle ou d'un programme d'utilisation élargie



- ~100 sites d'étude dans le monde
- 500 participants prévus
 - 1^{er} participant inscrit : février 2024
- Fin de l'étude : ~décembre 2034
- Suivi prospectif de ≥ 5 ans
- Les données recueillies lors de l'inscription comprendront des données historiques (≤ 5 ans précédents)



Objectifs

- Efficacité à long terme en situation réelle (par exemple, biomarqueurs, fonctions motrices et pulmonaires)
- Sécurité à long terme (c.-à-d. IARs, exposition pendant la grossesse)
- HR-QoL et PROs
- Caractériser l'histoire naturelle de la maladie

Changement de traitement des patients atteints de la maladie de Pompe

Prof. Tahseen Mozaffar
UCI School of Medicine
Irvine, CA, USA



Prof. Benedikt Schoser
Universität Ludwig-
Maximilians de Munich,
Allemagne

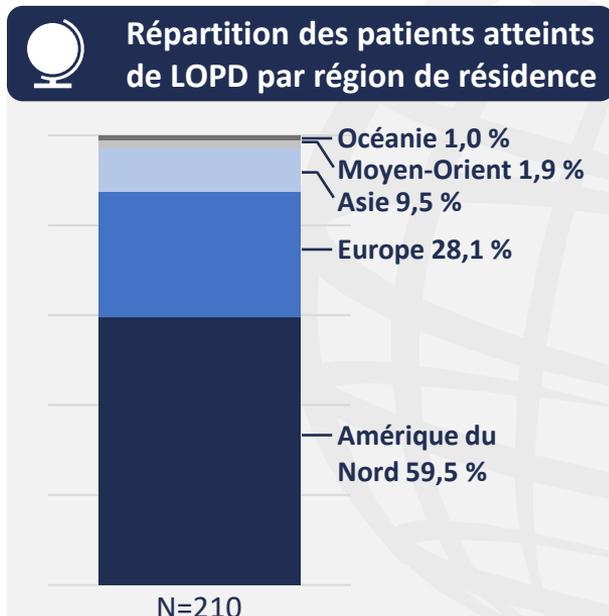


Enregistré à la suite du 29ème congrès annuel de la société mondiale du muscle, Prague, Tchéquie, 8–12 octobre 2024,
et du 21ème *Symposium* WORLD annuel de San Diego, CA, USA, 3–7 février 2025

P668 : Registre de la maladie de Pompe : Expérience en situation réelle de patients atteints de LOPD ayant changé de traitement pour passer de l'alglucosidase alfa (ALG) à l'avalglucosidase alfa (AVA)

Schoser B, et al.

Caractéristiques de base (Téléchargement des données : 5 avril 2024)	Patients
Patients du registre de la maladie de Pompe atteints de LOPD ayant changé de traitement, N	210
Temps de traitement par ALG avant le changement	
<5 ans, n (%)	85 (40,5 %)
≥5 ans, n (%)	125 (59,5 %)
Femmes, n (%)	110 (52,4 %)
Âge au moment du diagnostic de la maladie de Pompe, n	209
Moyenne, années (SD)	35,2 (21,41)
Moyenne des patients sous ALG <5 ans avant le changement, années (SD)	33,7 (22,39)
Moyenne des patients sous ALG ≥5 ans avant le changement, années (SD)	34,5 (20,74)
Médiane, années (min, max)	35,6 (0, 77,5)
Médiane des patients sous ALG <5 ans avant le changement, années (min, max)	34,7 (0, 70,6)
Médiane des patients sous ALG ≥5 ans avant le changement, années (min, max)	36,4 (0, 77,5)

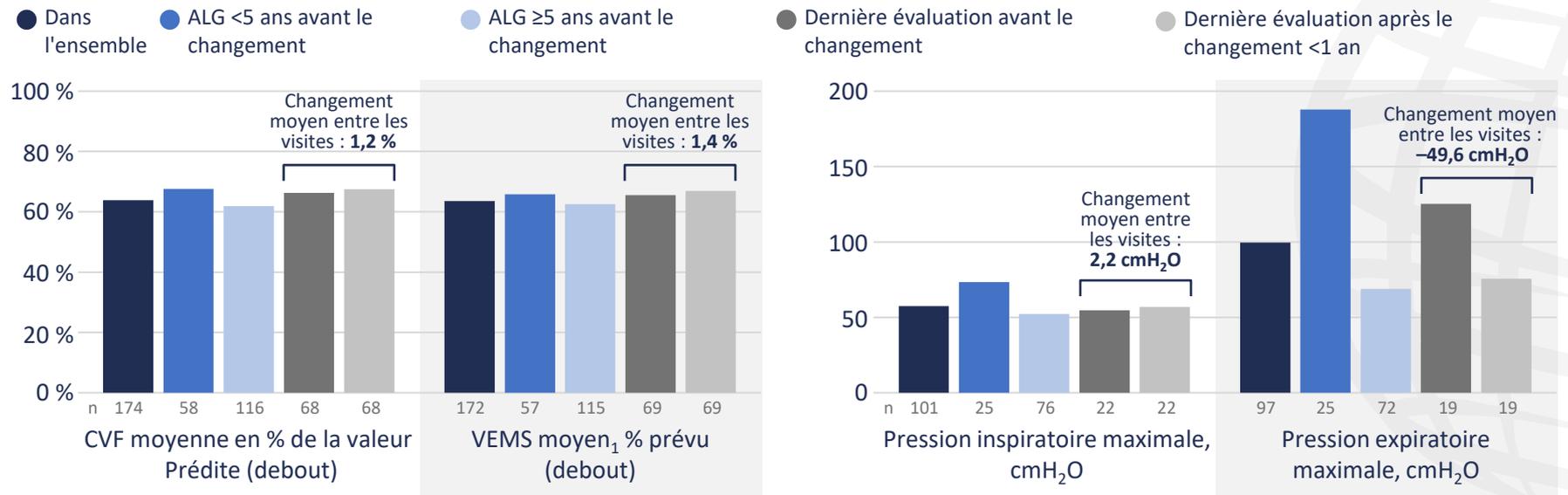


La plupart (59,5 % ; 125/210) des patients atteints de LOPD dans le registre de la maladie de Pompe, qui étaient passés de l'ALG à l'AVA, avaient reçu l'ALG pendant ≥5 ans avant le changement

P668 : Registre de la maladie de Pompe : Expérience en situation réelle de patients atteints de LOPD ayant changé de traitement pour passer de l'alglucosidase alfa (ALG) à l'avalglucosidase alfa (AVA)

Schoser B, et al.

Fonction pulmonaire



Les résultats préliminaires ont montré que les mesures d'efficacité des **résultats respiratoires** étaient **relativement stables**

ALG, alglucosidase alfa ; AVA, avalglucosidase alfa ; CVF, capacité vitale forcée ; VEMS₁, volume expiratoire forcé en 1 seconde. Schoser B, et al. Présenté à : 29e Congrès annuel de la World Muscle Society 2024, Prague, Tchèque. 8–12 octobre 2024. P668.

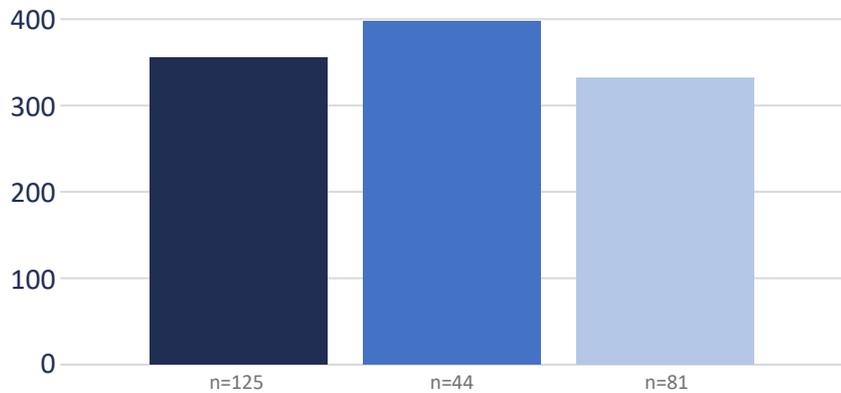


P668 : Registre de la maladie de Pompe : Expérience en situation réelle de patients atteints de LOPD ayant changé de traitement pour passer de l'algucosidase alfa (ALG) à l'avalglucosidase alfa (AVA)

Schoser B, et al.

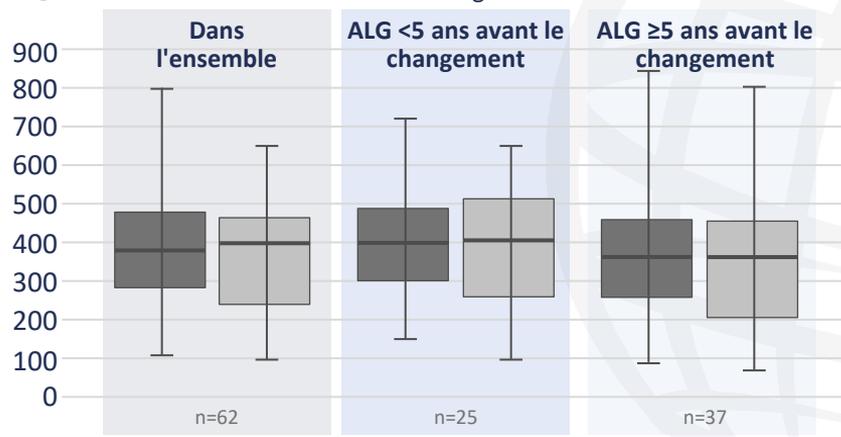
Fonction motrice

● Dans l'ensemble ● ALG <5 ans avant le changement ● ALG ≥5 ans avant le changement



Distance moyenne du TM6 lors de la dernière évaluation avant le passage de l'ALG à l'AVA pour les patients atteints de LOPD, en mètres

● Dernière évaluation avant le changement ● Dernière évaluation après le changement <1 an



Distance du TM6 lors de la dernière évaluation avant le changement et dernière évaluation moins de 1 an après le changement*, en mètres

Les résultats préliminaires ont montré que les mesures d'efficacité des résultats moteurs étaient relativement stables

*Le bas et le haut de la case indiquent les 25e et 75e percentiles ; la ligne à l'intérieur de la case indique la médiane ; les barres latérales indiquent les 5e et 95e percentiles.

ALG, algucosidase alfa ; AVA, avalglucosidase alfa ; LOPD, maladie de Pompe tardive ; TM6, test de marche de 6 minutes.

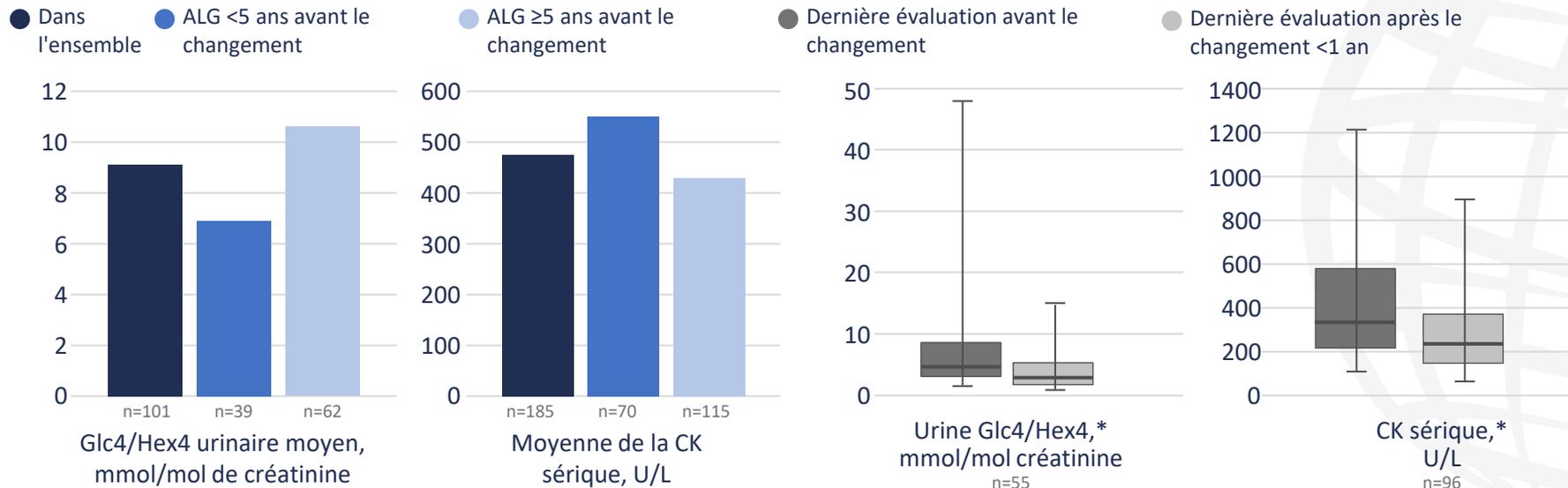
Schoser B, et al. Présenté à : 29e Congrès annuel de la World Muscle Society 2024, Prague, Tchéquie. 8–12 octobre 2024. P668.



P668 : Registre de la maladie de Pompe : Expérience en situation réelle de patients atteints de LOPD ayant changé de traitement pour passer de l'algucosidase alfa (ALG) à l'avalglucosidase alfa (AVA)

Schoser B, et al.

Biomarqueurs



Les résultats préliminaires ont montré que les biomarqueurs associés à la charge de morbidité diminuent (s'améliorent) après le changement de traitement

*Le bas et le haut de la case indiquent les 25e et 75e percentiles ; la ligne à l'intérieur de la case indique la médiane ; les barres latérales indiquent les 5e et 95e percentiles.
ALG, algucosidase alfa ; AVA, avalglucosidase alfa ; CK, créatine kinase ; Glc4/Hex4, glucose tétrasaccharide/hexose tétrasaccharide ; LOPD, maladie de Pompe tardive.
Schoser B, et al. Présenté à : 29e Congrès annuel de la World Muscle Society 2024, Prague, Tchéquie. 8–12 octobre 2024. P668.

303 : Améliorations cliniquement importantes du TM6 et de la CVF chez les adultes atteints de LOPD passant de l'αglucosidase alfa (ALG) à la cipaglucosidase alfa plus miglustat (CIPA + MIG) dans l'étude PROPEL

Schoser B, et al.

 Caractéristiques de base	CIPA + MIG (n=65)	ALG + PBO (n=30)
Âge médian, en années (fourchette)*	48,0 (21–74)	46,5 (24–66)
Âge médian au moment du diagnostic, en années (fourchette)*	39,0 (1–63)	39,0 (7–62)
Hommes, n (%)	28 (43,1)	14 (46,7)
Durée moyenne du traitement par ERT, en années (IQR)*	7,6 (4,3–10,2)	7,1 (3,8–10,4)
Durée de l'ERT, n (%)		
≥2 à <3 ans	4 (6,2)	5 (16,7)
≥3 à <5 ans	16 (24,6)	6 (20,0)
≥5 ans	45 (69,2)	64 (67,4)
TM6 moyen, en mètres (SD) [†]	346,9 (110,2)	334,6 (114,0)
VC moyenne prédite en position assise, % (SD) [†]	67,9 (19,1)	67,5 (21,0)

*Données de Kishnani PS, et al. *J Patient Rep Outcomes*. 2024;8:132. [†]Données de Schoser B, et al. *Lancet Neurol*. 2021;20:1027–37.

ALG, αglucosidase alfa ; CIPA, cipaglucosidase alfa ; ERT, enzymothérapie de substitution ; FVC, capacité vitale forcée ;

IQR, intervalle interquartile ; LOPD, maladie de Pompe tardive ; MIG, miglustat ; PBO, placebo ; SD, écart-type ; TM6, test de marche de 6 minutes.

Schoser B, et al. Présenté au : *Symposium World 2025*, San Diego, CA, USA. 3–7 février 2025. Extr. 303.

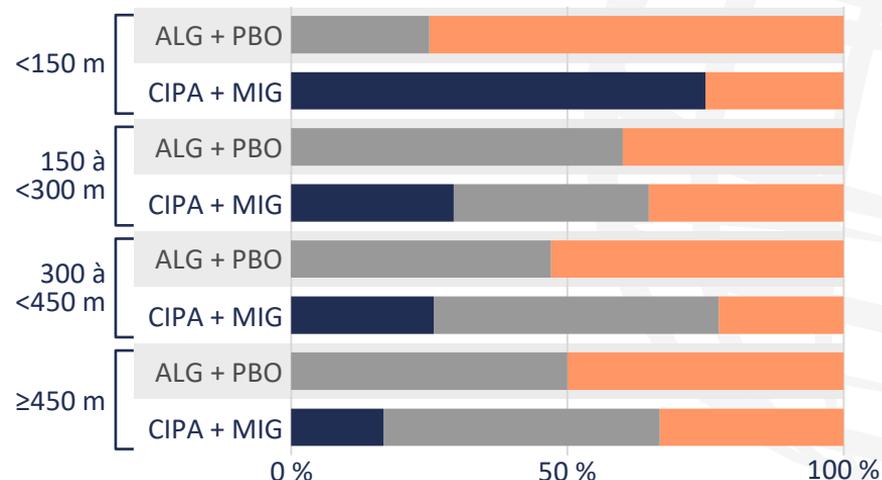
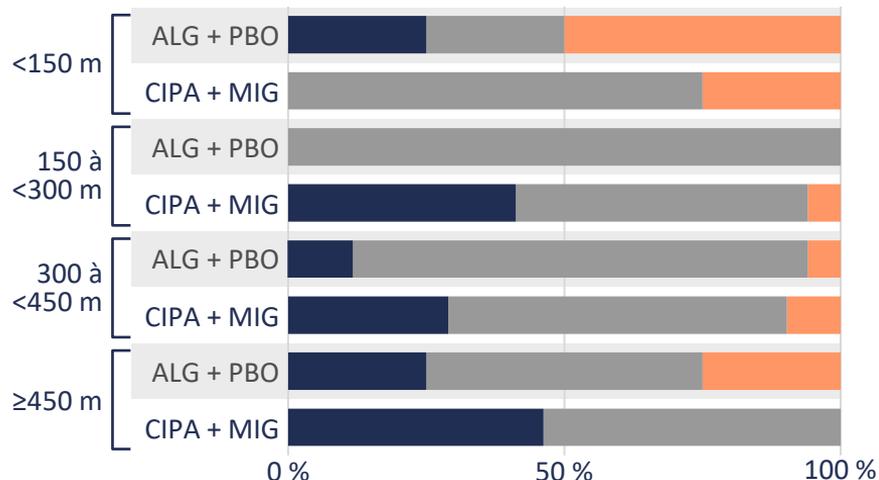
303 : Améliorations cliniquement importantes du TM6 et de la CVF chez les adultes atteints de LOPD passant de l'alglucosidase alfa (ALG) à la cipagluco-sidase alfa plus miglustat (CIPA + MIG) dans l'étude PROPEL

Schoser B, et al.

Niveau de réponse en fonction du TM6 de base :
Basé sur le TM6 CFBL à la semaine 52 et MCID* (%)

Niveau de réponse par un TM6 de base :
Basé sur la CVF prédite CFBL à la semaine 52 et MCID† (%)

● Amélioration ● Stable ● Aggravation

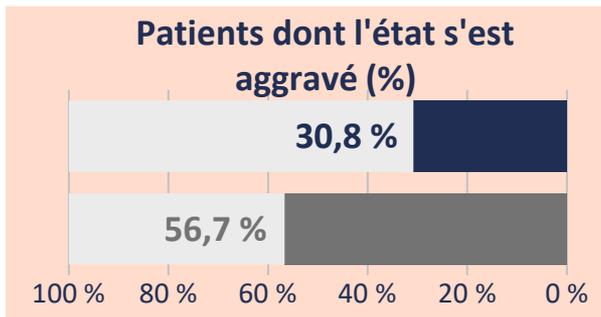


*Les niveaux de réponse (nombre de répondants) ont été déterminés : amélioration, TM6 CFBL à la semaine 52 \geq MCID ; stable, -MCID <TM6 CFBL à la semaine 52 <MCID ; aggravation, TM6 CFBL à la semaine 52 \leq -MCID. †Les niveaux de réponse (nombre de répondants) ont été déterminés : amélioration, CFBL de la CVF à la semaine 52 \geq 3 % ; stable, -3 % <FVC CFBL à la semaine 52 <3 % ; aggravation, CFBL de la CVF à la semaine 52 \leq -3 %. ALG, alglucosidase alfa ; CFBL, changement par rapport à la ligne de base ; CIPA, cipagluco-sidase alfa ; FVC, capacité vitale forcée ; LOPD, maladie de Pompe tardive ; MCID, différence minimale cliniquement importante ; MIG, miglustat ; PBO, placebo ; TM6, test de marche de 6 minutes.

303 : Améliorations cliniquement importantes du TM6 et de la CVF chez les adultes atteints de LOPD passant de l'alglucosidase alfa (ALG) à la cipaglucoSIDase alfa plus miglustat (CIPA + MIG) dans l'étude PROPEL

Schoser B, et al.

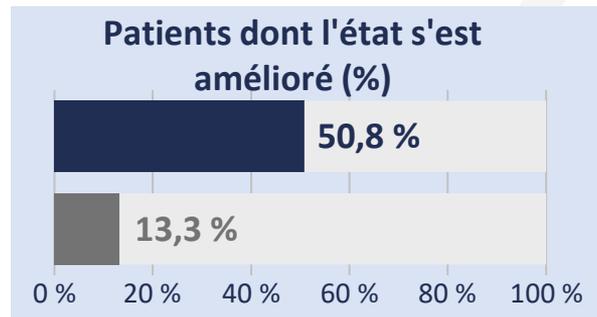
Proportion globale de patients présentant une amélioration ou une aggravation du TM6 et/ou de la CVF après le passage à l'ERT dans l'étude PROPEL



CIPA + MIG

ALG + PBO

L'état d'environ **la moitié** des patients traités avec le CIPA + MIG **s'est aggravé** par rapport à ALG

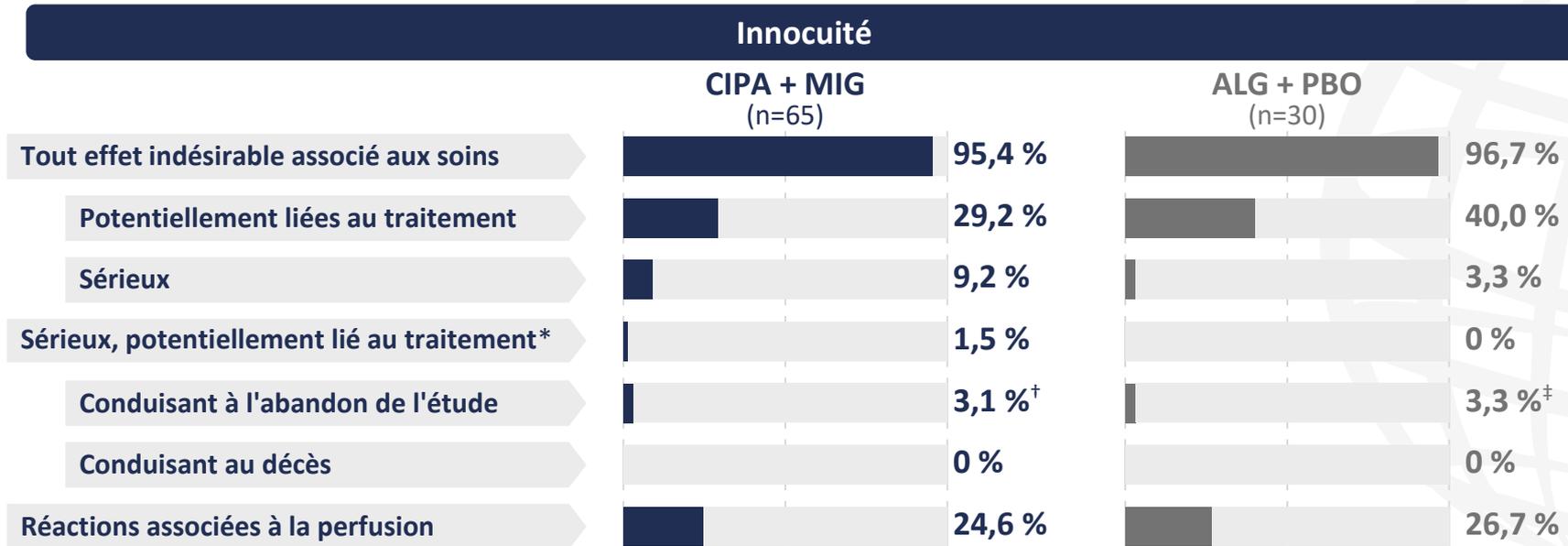


Presque **4x** plus de patients qui sont passés au CIPA + MIG ont **amélioré** leur TM6 et/ou leur CVF par rapport à ceux qui sont restés sous ALG

Plus de patients ont obtenu une amélioration cliniquement pertinente du TM6 et/ou de la CVF et moins de patients ont vu leur état s'aggraver avec CIPA + MIG vs ALG

303 : Améliorations cliniquement importantes du TM6 et de la CVF chez les adultes atteints de LOPD passant de l'aglucosidase alfa (ALG) à la cipaglucosidase alfa plus miglustat (CIPA + MIG) dans l'étude PROPEL

Schoser B, et al.



Les profils de sécurité du CIPA + MIG et de l'ALG + PBO dans la population de l'étude PROPEL ayant déjà reçu un traitement par ERT étaient similaires

*Lien avec le traitement déterminé par l'investigateur. [†]Réaction anaphylactique et frissons. [‡]Accident vasculaire cérébral (AVC) non lié au médicament à l'étude.

ALG, alglucosidase alfa ; CIPA, cipaglucosidase alfa ; ERT, enzymothérapie de substitution ; FVC, capacité vitale forcée ; LOPD, maladie de Pompe tardive ; MIG, miglustat ; PBO, placebo ; SD, écart-type ; TM6, test de marche de 6 minutes. Schoser B, et al. Présenté au : *Symposium World 2025*, San Diego, CA, USA. 3-7 février 2025. Extr. 303.

46 : CIPA plus MIG dans la LOPD :

Deux patients non ambulatoires précédemment sous ALG à haute dose et à haute fréquence

Byrne BJ, et al.

CIPA + MIG a montré des avantages à long terme avec peu d'effets indésirables



N=2

- Âgés de 18 à 25 ans pendant l'étude
- Diagnostiqués avant l'âge de 2 ans
- Patient 1 : femme ; patient 2 : homme
- Même génotype (C.1210G>A ; C.1924G>T)
- Recevant de l'ALG depuis l'âge de 4–6 ans
- Dose élevée hebdomadaire (40 mg/kg)

Score QMT pour le haut du corps, Après le passage au CIPA + MIG :



■ Baseline ■ 54 months

- Les patients ont fait état d'une amélioration de leur bien-être physique général
- Les médecins ont principalement indiqué une amélioration de l'état de santé
- uHex4 et sCK ↓ par rapport à la ligne de base à chaque évaluation

CIPA + MIG : bien toléré avec 11 TEAE en tout au moment de l'arrêt de l'enregistrement des données*

- Aucun effet indésirable grave n'a été signalé
- Aucune réaction liée à la perfusion
- Aucun n'a été jugé lié au traitement, à l'exception de la fatigue chez le patient 2

*Date de clôture des données : 13 décembre 2021. AE, événement indésirable ; ALG, alglucosidase alfa ; CIPA, cipagluscosidase alfa ; CVF, capacité vitale forcée ; LOPD, maladie de Pompe tardive ; MIG, miglustat ; PGIC, Impression générale de changement chez les médecins ; pred, prédit ; QMT, test musculaire quantitatif ; sCK, créatine kinase sérique ;

SGIC, impression générale de changement chez les sujets ; TEAE, effet indésirable associé aux soins ; TM6, test de marche de 6 minutes ; uHex4, hexose tétrasaccharide urinaire.

1. Byrne BJ, et al. Présenté à : Congrès 2024 de la World Muscle Society, Prague, République tchèque. 8–12 octobre 2024. Extr. 657P, et Symposium WORLD 2025, San Diego, CA.

ÉTATS-UNIS. 3–7 février 2025. Extr. 46 ; 2. DeArmey S, et al. Présenté au : Symposium World 2025, San Diego, CA, USA. 3–7 février 2025. Extr. 70.

70 : Résultats d'un patient pédiatrique atteint de LOPD passant de l'ALG à haute dose et à haute fréquence à une dose standard de CIPA + MIG

DeArmey S, et al.

Amélioration ou stabilité observée au cours de 160 semaines de traitement



N=1

- Garçon, âgé de 1 an au moment du diagnostic (en 2006)
- Sous ALG pendant 14 ans avant de passer à la dose standard de CIPA + MIG lors de l'entrée dans l'étude ATB200-04
- Âgé de 15 ans au début de l'étude
- Passage au CIPA + MIG approuvé à l'âge de 18 ans

Amélioration de la fonction motrice (de l'état initial à la semaine 156) :



Δ CVF en position assise (% prévu)

CIPA + MIG : résultats de sécurité similaires à ceux observés chez les adultes

- Tous les effets indésirables n'étaient pas graves et leur gravité était légère ou modérée

Application des données à la pratique clinique chez les patients atteints de la maladie de Pompe

Prof. Tahseen Mozaffar
École de médecine de l'UCI
Irvine, CA, USA



Enregistré à la suite du 29ème congrès annuel de la société mondiale du muscle, Prague, Tchéquie, 8–12 octobre 2024,
et du 21ème *Symposium* WORLD annuel de San Diego, CA, USA, 3–7 février 2025

139 : Miglustat : un stabilisateur enzymatique de première classe pour la LOPD

Hopkin RJ, et al.

Impact de la MIG sur les résultats fonctionnels du CIPA

- Le MIG stabilise le CIPA à un pH de 7,4 (sang)
- Le MIG a augmenté l'exposition au CIPA chez les souris Gaa^{-/-} et a entraîné une amélioration de la clairance du glycogène et de la force de préhension
- Le MIG augmente l'exposition au CIPA chez l'homme dans une plus large mesure que chez la souris

Modification de l'AUC de la concentration totale de protéines GAA avec CIPA + MIG chez la souris et l'homme



↑ 6,8 %



↑ 28,5 %

Profil de sécurité du CIPA + MIG à partir de l'analyse groupée de 3 essais (N=151)

Tout EIAS apparu pendant le traitement	98,7 %
EIAS lié au MIG uniquement	13,9 %
EIAS grave lié au MIG uniquement	0

Dans une étude en tête-à-tête (PROPEL) ; CIPA + MIG présente un profil de sécurité similaire à celui de l'ALG

CIPA + MIG est associé à une réduction des taux de Hex4 et de CK vs CIPA seul

La combinaison CIPA + MIG améliore l'administration de la rhGAA, réduit les niveaux de biomarqueurs, et est bien tolérée chez les adultes atteints de LOPD

236 : Thérapie génique de remplacement de l'AT845 pour la LOPD : mise à jour des données d'innocuité et d'efficacité préliminaires de FORTIS, une étude clinique ouverte de phase I/II

Mozaffar T, et al.



Cohorte de patients N=6

Innocuité

Tous les événements hépatiques
(augmentation des ALT/AST observée chez 5 des 6 participants et jugée possiblement liée à l'AT845) ont été **asymptomatiques** et ont **répondu au traitement immunosuppresseur par glucocorticoïdes**

Efficacité

- Une transduction claire de l'AT845 a été observée
- Les patients ont montré une nette amélioration des niveaux et de l'activité de la GAA dans les muscles

Ont abandonné l'ERT* n=5

N'ont pas repris l'ERT n=5

- CVF
- TM6
- Fatigue PROMIS
- R-PAct

Évaluations stables pour les 4 premiers participants pendant ≤ 2 ans après l'administration du médicament, y compris après l'arrêt de l'ERT

Les patients recevant l'AT845 sont restés cliniquement stables alors qu'ils n'ont pas reçu d'ERT pendant au moins 1 an et jusqu'à 3,5 ans

*À 10, 15, 15, 17 et 24 semaines, respectivement.

ALT, alanine aminotransférase ; AST, aspartate aminotransférase ; ERT, enzymothérapie de substitution ; CVF, capacité vitale forcée ; GAA, alpha-glucosidase acide ; LOPD, maladie de Pompe tardive ; PROMIS, Patient Reported Outcomes Measurement Information System ; R-PAct, activité provoquée par Rasch spécifique à la maladie de Pompe ; TM6, test de marche de 6 minutes. Mozaffar T, et al. Présenté lors du 21e *Symposium* WORLD annuel 2025 à San Diego, CA, ÉTATS-UNIS. 3-7 février 2025. Extr. 236.