

*Cipaglucosidase alfa (POMBILITI<sup>®</sup>)*

Amicus Therapeutics GmbH

**Anhang 4-G zu Modul 4 A**

*Langfristige Enzymersatztherapie in Kombination mit Miglustat zur Behandlung von Erwachsenen mit Morbus Pompe (saure  $\alpha$ -Glucosidase [GAA]-Mangel) der späten Verlaufsform (late onset Pompe disease, LOPD)*

Stand: 01.08.2023

**Inhaltsverzeichnis**

<b>Inhaltsverzeichnis</b> .....	<b>1</b>
<b>Subgruppen Index</b> .....	<b>3</b>
<b>Intention To Treat</b> .....	<b>4</b>
6-Minute Walk Distance (6MWD).....	4
35.7.1.01 .....	4
Forced Vital Capacity (FVC) .....	47
35.7.1.02 .....	47
Manual Muscle Test (MMT) .....	70
35.7.1.03 .....	70
Quantitative Muscle Test (QMT) .....	147
35.7.1.04 .....	147
Patient-Reported Outcomes Measurement Information System (PROMIS).....	203
35.7.1.05. ....	203
Gait, Stairs, Gowers, Chair (GSGC) .....	338
35.7.1.06 .....	338
Timed Up and Go (TUG) .....	486
35.7.1.07 .....	486
Rasch-built Pompe-specific Activity (R-PAct) .....	496
35.7.1.08 .....	496
European Quality of Life 5 Dimensions Visual Analogue Scale (EQ-5D-VAS) .....	519
35.7.1.09 .....	519
Subject's Global Impression of Change (SGIC).....	551
35.7.1.10 .....	551
Sicherheit.....	896
Unerwünschte Ereignisse (UE).....	896
Milde UE .....	908
UE mit infusionsbedingten Reaktionen (IAR) .....	914
Therapieabbrüche aufgrund von UE.....	917
<b>Subpopulation ERT vorbehandelt</b> .....	<b>918</b>
6-Minute Walk Distance (6MWD).....	918
35.7.1.01 .....	918
Subject's Global Impression of Change (SGIC).....	920
35.7.1.10 .....	920
Patient-Reported Outcomes Measurement Information System (PROMIS).....	1083
35.7.1.05 .....	1083
Rasch-built Pompe-specific Activity (R-PAct) .....	1095
35.7.1.08 .....	1095
European Quality of Life 5 Dimensions Visual Analogue Scale (EQ-5D-VAS) .....	1098
35.7.1.09 .....	1098
Sicherheit.....	1101
Unerwünschte Ereignisse (UE).....	1101
Milde UE .....	1106
Moderate UE.....	1111
Schwere UE .....	1114
Schwerwiegende unerwünschte Ereigniss (SUE).....	1115

UE mit infusionsbedingten Reaktionen (IAR) .....	1116
Therapieabbrüche aufgrund von UE.....	1121

**Subgruppen Index**

Subgruppe		Merkmal	
01	Geschlecht	1	Männlich
		2	Weiblich
02	Abstammung	1	Asiatisch
		2	Japanisch
		3	Ureinwohner Amerikas oder Alaskas
		4	Schwarz oder Afroamerikaner
		5	Hawaiianer oder Pazifikinsulaner
		6	Weiß
		7	Andere
03	Region	1	Asien-Pazifik
		2	Europa
		3	Nord/Südamerika
04	Altersgruppe	1	≥ 18 – < 35 Jahre
		2	≥ 35 – < 50 Jahre
		3	≥ 50 – < 65 Jahre
		4	≥ 65 Jahre
05	ERT-Status	1	ERT-vorbehandelt
		2	ERT-naive
06	Baseline 6MWD Kategorie	1	≥ 75 – < 150 m
		2	≥ 150 – < 400 m
		3	≥ 400 m
07	Baseline 6MWD Median	1	< Median
		2	≥ Median
08	Baseline FVC	1	< Median
		2	≥ Median
09	ERT-Dauer in Gruppen	1	≥ 2 – < 3 Jahre
		2	≥ 3 – < 5 Jahre
		3	≥ 5 Jahre
10	Anamnese mit IAR	1	Ja
		2	Nein

Die Subgruppenanalysen werden nur für die Merkmale dargestellt, bei denen die resultierenden Subgruppen jeweils mindestens 10 Patienten umfassen. Subgruppenanalysen für binäre Ereignisse wurden je Merkmal nur dann durchgeführt, wenn in einer der Subgruppen mindestens 10 Ereignisse aufgetreten sind.

**Intention To Treat****6-Minute Walk Distance (6MWD)****35.7.1.01****35.7.1.01.01.1. Veränderung der 6MWD****35.7.1.01.01.1. Veränderung der 6MWD: Analyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidas- e alfa/ Miglustat	Alglu- cosidas- e alfa/ Placebo	
N	85	38	-
<b>Veränderung der 6MWD</b>			
<b>Baseline</b>			
n/N (%)	85/85 (100)	38/38 (100)	-
MW (SD)	357,93 (111,843)	350,14 (119,776)	
<b>Änderung zu Woche 12</b>			
n/N (%)	83/85 (98)	38/38 (100)	Hedges` g 0,19 [-0,191; 0,578] 0,3236
MW (SD)	13,20 (24,931)	8,48 (22,630)	
LS MW (SE)	12,85 (2,723)	8,16 (4,096)	LS MD 4,69 [-5,211; 14,587] 0,3502
95 %-KI	7,451; 18,240	0,045; 16,272	
<b>Änderung zu Woche 26</b>			
n/N (%)	73/85 (86)	35/38 (92)	Hedges` g 0,14 [-0,264; 0,543] 0,4979
MW (SD)	17,44 (32,740)	12,78 (33,979)	
LS MW (SE)	15,98 (4,277)	11,61 (6,350)	LS MD 4,36 [-10,904; 19,633] 0,5723
95 %-KI	7,503; 24,447	-0,967; 24,188	
<b>Änderung zu Woche 38</b>			
n/N (%)	78/85 (92)	36/38 (95)	

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	16,38 (36,776)	19,10 (57,789)	Hedges` g -0,06 [-0,456; 0,334] 0,7629
LS MW (SE)	16,17 (5,169)	17,06 (7,694)	LS MD -0,89 [-19,335; 17,558] 0,9242
95 %-KI	5,933; 26,411	1,820; 32,301	
<b>Änderung zu Woche 52</b>			
n/N (%)	81/85 (95)	37/38 (97)	Hedges` g 0,06 [-0,329; 0,449] 0,7623
MW (SD)	20,56 (42,266)	17,40 (69,695)	
LS MW (SE)	21,68 (5,690)	16,13 (8,471)	LS MD 5,55 [-14,739; 25,845] 0,5888
95 %-KI	10,413; 32,954	-0,649; 32,909	
<p><sup>a</sup>Die Veränderung der Punktwerte gegenüber Baseline plus 95 %-KI und p-Wert zu jedem spezifizierten Zeitpunkt wurden mit einem MMRM Model, stratifiziert nach Geschlecht, Alter, Gewicht und Größe zu Baseline und ERT-Status mit dem Baseline-Wert der jeweiligen Skala als Kovariate auf Basis der Mittelwerte der kleinsten Quadrate analysiert. Das Effektmaß Hedges` g ist die Differenz der Mittelwerte geteilt durch die gepoolte Standardabweichung.</p> <p>Hinweis: Alle Werte wurden mit dem Programm R als Näherung kalkuliert.</p> <p>ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; LS MD: Mittelwertdifferenz der kleinsten Quadrate; LS MW (SE): Mittelwert der kleinsten Quadrate (Standardfehler); MW (SD): Mittelwert (Standardabweichung); N: Patienten mit Baselinewert; n: Anzahl der Patienten mit Baselinewert in der Analyse</p>			

**35.7.1.01.01.1. Veränderung der 6MWD: Interaktionstest**

<b>Veränderung der 6MWD: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,0307
02	0,0852
03	0,0809
04	0,1152
05	< 0,0001
06	0,9733
07	0,8184
08	0,0074
09	0,0004
10	0,0007
<p><i><sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i></p> <p><i>In dem Interaktionstest bei Subgruppe 09 ERT-Dauer wird die Variable ERT-Status aus dem Model entfernt, da es keine Dauer der ERT Behandlung für ERT naive Patienten gibt</i></p>	

**35.7.1.01.01.1. Veränderung der 6MWD: Subgruppenanalyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>Veränderung der 6MWD</b>			
Baseline-Werte			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	36/36 (100)	20/20 (100)	-
MW (SD)	398,37 (108,571)	362,15 (99,524)	
2			
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	-
MW (SD)	328,22 (105,680)	336,80 (140,697)	
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	-
MW (SD)	371,06 (76,276)	346,76 (97,964)	
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	-
MW (SD)	361,88 (116,617)	355,40 (150,910)	
3			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	-
MW (SD)	343,31 (123,825)	348,41 (114,588)	
<b>07</b>			
1			



PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Algluco- sidade alfa/Placebo	
<b>N</b>	<b>85</b>	<b>38</b>	-
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	-
MW (SD)	270,49 (75,143)	258,10 (82,124)	
<b>2</b>			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	-
MW (SD)	443,34 (66,269)	442,18 (69,723)	
<b>08</b>			
<b>1</b>			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	-
MW (SD)	330,30 (111,770)	309,75 (97,042)	
<b>2</b>			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	-
MW (SD)	384,91 (106,368)	382,84 (128,440)	
Änderung zu Woche 12			
<b>01</b>			
<b>1</b>			
n/N (%)	36/36 (100)	20/20 (100)	Hedges` g
MW (SD)	15,36 (27,492)	15,18 (18,381)	0,01 [-0,539; 0,554]
LS MW (SE)	14,32 (4,377)	17,09 (5,950)	LS MD
95 %-KI	5,521; 23,113	5,134; 29,048	-2,77 [-18,073; 12,525] 0,7172
<b>2</b>			
n/N (%)	47/49 (96)	18/18 (100)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Alglucosidade alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	11,55 (22,946)	1,03 (25,009)	0,44 [-0,107; 0,991]
LS MW (SE)	10,48 (4,785)	2,61 (7,953)	LS MD
95 %-KI	0,912; 20,053	-13,299; 18,519	7,87 [-10,946; 26,690] 0,4061
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges` g
MW (SD)	11,46 (28,088)	12,61 (26,915)	-0,04 [-0,808; 0,728]
LS MW (SE)	11,46 (8,797)	13,28 (10,928)	LS MD
95 %-KI	-6,953; 29,873	-9,589; 36,154	-1,82 [-32,813; 29,167] 0,9033
2			
n/N (%)	42/43 (98)	12/12 (100)	Hedges` g
MW (SD)	14,76 (26,964)	2,04 (18,129)	0,49 [-0,154; 1,143]
LS MW (SE)	14,59 (5,754)	-0,48 (10,869)	LS MD
95 %-KI	3,017; 26,168	-22,347; 21,383	15,07 [-9,733; 39,882] 0,2276
3			
n/N (%)	25/26 (96)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	11,70 (19,491)	10,60 (22,892)	0,05 [-0,588; 0,692]
LS MW (SE)	12,34 (4,103)	10,07 (5,485)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	3,997; 20,690	-1,084; 21,234	2,27 [-12,069; 16,607] 0,7495
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	41/42 (98)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	10,63 (23,325)	6,06 (26,276)	0,19 [-0,359; 0,731]
LS MW (SE)	11,25 (6,388)	3,98 (9,557)	LS MD
95 %-KI	-1,560; 24,066	-15,187; 23,152	7,27 [-16,233; 30,773] 0,5376
2			
n/N (%)	42/43 (98)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	15,72 (26,442)	10,90 (18,705)	0,20 [-0,348; 0,739]
LS MW (SE)	15,39 (3,820)	11,64 (5,763)	LS MD
95 %-KI	7,733; 23,049	0,085; 23,195	3,75 [-10,226; 17,727] 0,5928
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	41/42 (98)	17/17 (100)	Hedges` g
MW (SD)	10,23 (20,337)	3,77 (23,860)	0,30 [-0,271; 0,866]
LS MW (SE)	9,65 (3,478)	3,74 (5,533)	LS MD
95 %-KI	2,665; 16,632	-7,364; 14,853	5,90 [-7,385; 19,193] 0,3766

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
2			
n/N (%)	42/43 (98)	21/21 (100)	Hedges` g
MW (SD)	16,11 (28,672)	12,29 (21,398)	0,14 [-0,382; 0,667]
LS MW (SE)	15,65 (4,466)	12,62 (6,438)	LS MD
95 %-KI	6,703; 24,595	-0,276; 25,517	3,03 [-13,012; 19,069] 0,7067
Änderung zu Woche 26			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	29/36 (81)	20/20 (100)	Hedges` g
MW (SD)	20,82 (35,803)	16,81 (32,794)	0,11 [-0,456; 0,684]
LS MW (SE)	18,41 (7,178)	18,72 (9,414)	LS MD
95 %-KI	3,986; 32,836	-0,198; 37,639	-0,31 [-24,395; 23,775] 0,9795
2			
n/N (%)	44/49 (90)	15/18 (83)	Hedges` g
MW (SD)	15,20 (30,777)	7,41 (35,921)	0,24 [-0,348; 0,827]
LS MW (SE)	13,46 (4,613)	9,12 (7,873)	LS MD
95 %-KI	4,235; 22,690	-6,630; 24,868	4,34 [-14,189; 22,876] 0,6409
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	15/16 (94)	11/11 (100)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	21,33 (24,886)	20,32 (45,499)	0,03 [-0,750; 0,806]
LS MW (SE)	19,85 (13,311)	20,99 (16,138)	LS MD
95 %-KI	-8,015; 47,705	-12,786; 54,769	-1,15 [-45,987; 43,694] 0,9579
2			
n/N (%)	33/43 (77)	9/12 (75)	Hedges` g
MW (SD)	17,65 (33,694)	9,12 (28,034)	0,26 [-0,483; 0,996]
LS MW (SE)	14,56 (5,107)	6,49 (9,761)	LS MD
95 %-KI	4,290; 24,839	-13,149; 26,123	8,08 [-14,181; 30,337] 0,4690
3			
n/N (%)	25/26 (96)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	14,82 (36,387)	9,45 (28,480)	0,16 [-0,485; 0,797]
LS MW (SE)	15,15 (6,697)	8,92 (8,824)	LS MD
95 %-KI	1,527; 28,778	-9,032; 26,875	6,23 [-16,553; 29,016] 0,5817
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	36/42 (86)	17/19 (89)	Hedges` g
MW (SD)	17,18 (34,489)	11,79 (43,150)	0,14 [-0,435; 0,720]
LS MW (SE)	17,80 (5,133)	7,17 (7,791)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	7,500; 28,090	-8,456; 22,798	10,62 [-8,687; 29,935] 0,2748
2			
n/N (%)	37/43 (86)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	17,69 (31,419)	13,72 (23,556)	0,13 [-0,430; 0,698]
LS MW (SE)	16,27 (5,339)	15,03 (7,873)	LS MD
95 %-KI	5,571; 26,978	-0,755; 30,814	1,25 [-17,920; 20,411] 0,8968
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	37/42 (88)	15/17 (88)	Hedges` g
MW (SD)	15,79 (36,976)	-1,05 (20,937)	0,50 [-0,110; 1,107]
LS MW (SE)	14,46 (5,061)	-1,98 (8,018)	LS MD
95 %-KI	4,298; 24,620	-18,076; 14,119	16,44 [-2,720; 35,596] 0,0910
2			
n/N (%)	36/43 (84)	20/21 (95)	Hedges` g
MW (SD)	19,13 (28,159)	23,15 (38,454)	-0,12 [-0,670; 0,424]
LS MW (SE)	17,88 (6,807)	23,40 (9,639)	LS MD
95 %-KI	4,249; 31,521	4,091; 42,709	-5,52 [-29,376; 18,345] 0,6451
Änderung zu Woche 38			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	32/36 (89)	19/20 (95)	Hedges` g
MW (SD)	10,07 (45,919)	29,89 (72,311)	-0,34 [-0,914; 0,230]
LS MW (SE)	12,36 (10,391)	29,49 (13,781)	LS MD
95 %-KI	-8,522; 33,240	1,800; 57,188	-17,13 [-52,029; 17,760] 0,3286
2			
n/N (%)	46/49 (94)	17/18 (94)	Hedges` g
MW (SD)	20,76 (28,525)	7,03 (33,610)	0,45 [-0,109; 1,015]
LS MW (SE)	18,69 (4,354)	7,60 (7,309)	LS MD
95 %-KI	9,986; 27,403	-7,015; 22,225	11,09 [-6,224; 28,404] 0,2050
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	15/16 (94)	11/11 (100)	Hedges` g
MW (SD)	32,15 (45,795)	35,60 (93,493)	-0,05 [-0,826; 0,730]
LS MW (SE)	30,42 (20,126)	36,27 (24,067)	LS MD
95 %-KI	-11,707; 72,541	-14,099; 86,646	-5,86 [-72,184; 60,470] 0,8553
2			
n/N (%)	40/43 (93)	11/12 (92)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	14,02 (37,702)	10,45 (35,661)	0,09 [-0,574; 0,762]
LS MW (SE)	16,21 (5,397)	6,45 (10,305)	LS MD
95 %-KI	5,357; 27,070	-14,276; 27,186	9,76 [-13,722; 33,240] 0,4073
3			
n/N (%)	23/26 (88)	14/15 (93)	Hedges` g
MW (SD)	10,20 (25,680)	12,92 (30,892)	-0,10 [-0,761; 0,569]
LS MW (SE)	7,79 (5,862)	10,61 (7,714)	LS MD
95 %-KI	-4,140; 19,715	-5,089; 26,301	-2,82 [-22,822; 17,184] 0,7761
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	40/42 (95)	17/19 (89)	Hedges` g
MW (SD)	17,39 (33,060)	25,89 (78,372)	-0,17 [-0,734; 0,403]
LS MW (SE)	18,82 (6,634)	20,58 (10,143)	LS MD
95 %-KI	5,513; 32,126	0,235; 40,923	-1,76 [-26,524; 23,004] 0,8872
2			
n/N (%)	38/43 (88)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	15,31 (40,746)	13,02 (30,844)	0,06 [-0,491; 0,611]
LS MW (SE)	15,82 (6,298)	13,76 (9,215)	LS MD



PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	3,197; 28,450	-4,718; 32,230	2,07 [-20,380; 24,515] 0,8542
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	38/42 (90)	16/17 (94)	Hedges` g
MW (SD)	15,72 (29,798)	-1,35 (19,599)	0,62 [0,021; 1,214]
LS MW (SE)	14,14 (4,273)	-2,20 (6,728)	LS MD
95 %-KI	5,561; 22,717	-15,705; 11,309	16,34 [0,176; 32,498] 0,0476
2			
n/N (%)	40/43 (93)	20/21 (95)	Hedges` g
MW (SD)	17,00 (42,743)	35,45 (72,214)	-0,34 [-0,876; 0,204]
LS MW (SE)	19,30 (9,334)	33,24 (13,288)	LS MD
95 %-KI	0,605; 38,003	6,620; 59,860	-13,94 [-46,630; 18,758] 0,3968
Änderung zu Woche 52			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	33/36 (92)	19/20 (95)	Hedges` g
MW (SD)	20,11 (47,769)	29,06 (86,302)	-0,14 [-0,702; 0,428]
LS MW (SE)	22,98 (11,378)	28,56 (15,153)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	0,113; 45,845	-1,894; 59,009	-5,58 [-43,857; 32,700] 0,7709
2			
n/N (%)	48/49 (98)	18/18 (100)	Hedges` g
MW (SD)	20,88 (38,559)	5,09 (45,695)	0,38 [-0,161; 0,930]
LS MW (SE)	20,42 (4,741)	6,67 (7,899)	LS MD
95 %-KI	10,939; 29,906	-9,129; 22,473	13,75 [-4,939; 32,441] 0,1463
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	15/16 (94)	11/11 (100)	Hedges` g
MW (SD)	39,95 (48,220)	44,97 (109,150)	-0,06 [-0,839; 0,717]
LS MW (SE)	38,15 (22,078)	45,64 (26,344)	LS MD
95 %-KI	-8,059; 84,358	-9,497; 100,780	-7,49 [-80,026; 65,042] 0,8311
2			
n/N (%)	41/43 (95)	12/12 (100)	Hedges` g
MW (SD)	20,71 (44,110)	1,53 (44,324)	0,43 [-0,221; 1,077]
LS MW (SE)	23,02 (5,666)	-0,99 (10,630)	LS MD
95 %-KI	11,618; 34,415	-22,376; 20,395	24,01 [-0,292; 48,306] 0,0527
3			

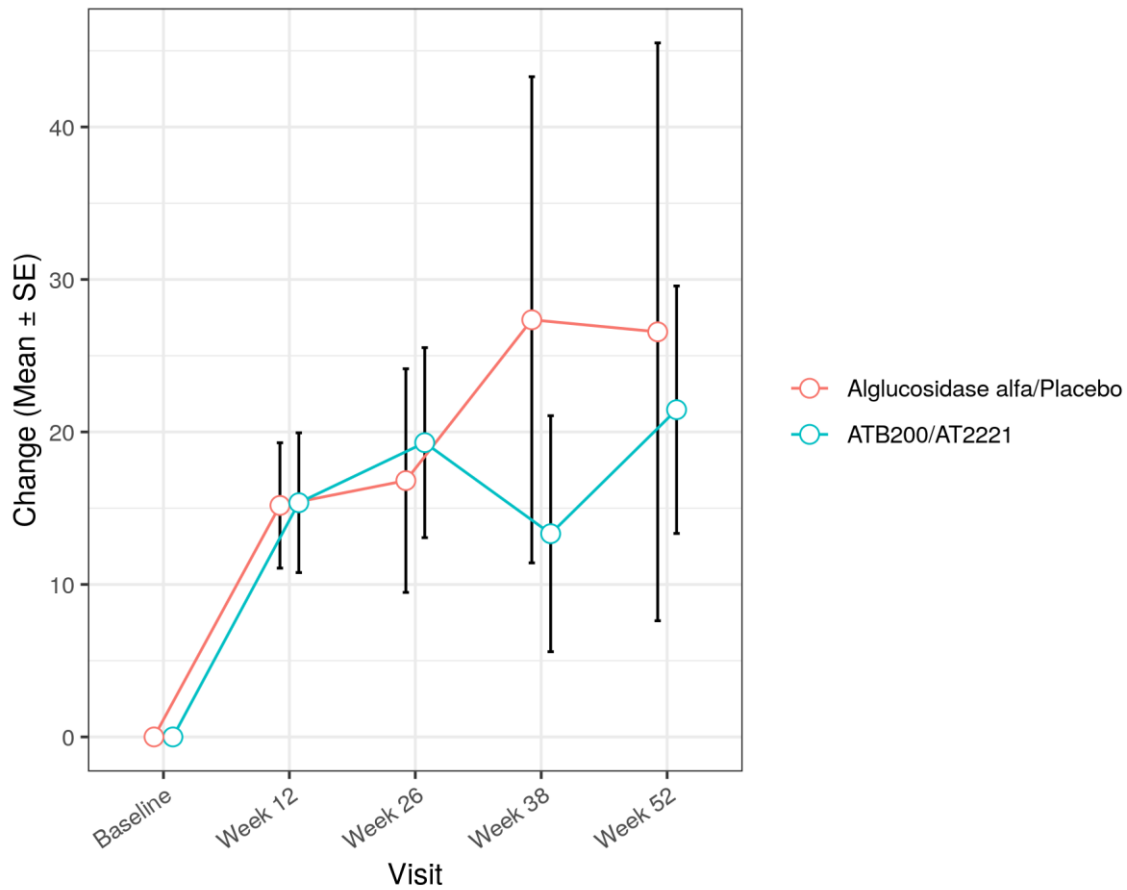
PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
n/N (%)	25/26 (96)	14/15 (93)	Hedges` g
MW (SD)	8,70 (31,210)	9,34 (40,980)	-0,02 [-0,672; 0,636]
LS MW (SE)	8,96 (6,773)	6,72 (9,065)	LS MD
95 %-KI	-4,820; 22,740	-11,722; 25,164	2,24 [-21,027; 25,506] 0,8459
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	41/42 (98)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	20,16 (44,024)	21,34 (94,645)	-0,02 [-0,573; 0,536]
LS MW (SE)	22,56 (7,569)	17,66 (11,438)	LS MD
95 %-KI	7,375; 37,736	-5,276; 40,605	4,89 [-22,990; 32,772] 0,7263
2			
n/N (%)	40/43 (93)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	20,98 (40,941)	13,67 (34,997)	0,18 [-0,363; 0,731]
LS MW (SE)	22,52 (6,312)	14,41 (9,343)	LS MD
95 %-KI	9,861; 35,171	-4,320; 33,143	8,10 [-14,571; 30,781] 0,4767
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	41/42 (98)	17/17 (100)	Hedges` g
MW (SD)	14,03 (40,043)	-6,90 (18,735)	0,58 [0,009; 1,161]

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
LS MW (SE)	14,26 (5,169)	-6,92 (8,139)	LS MD
95 %-KI	3,883; 24,639	-23,263; 9,417	21,18 [1,708; 40,661] 0,0336
2			
n/N (%)	40/43 (93)	20/21 (95)	Hedges` g
MW (SD)	27,27 (43,919)	38,05 (89,055)	-0,17 [-0,708; 0,367]
LS MW (SE)	29,26 (10,394)	35,64 (14,776)	LS MD
95 %-KI	8,442; 50,086	6,043; 65,242	-6,38 [-42,715; 29,959] 0,7264
<p><sup>a</sup>Die Veränderung der Punktwerte gegenüber Baseline plus 95 %-KI und p-Wert zu jedem spezifizierten Zeitpunkt wurden mit einem MMRM Model, stratifiziert nach Geschlecht, Alter, Gewicht und Größe zu Baseline und ERT-Status mit dem Baseline-Wert der jeweiligen Skala als Kovariate auf Basis der Mittelwerte der kleinsten Quadrate analysiert.durch die gepoolte Standardabweichung.</p> <p>ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; LS MD: Mittelwertdifferenz der kleinsten Quadrate; LS MW (SE): Mittelwert der kleinsten Quadrate (Standardfehler); MW (SD): Mittelwert (Standardabweichung); N: Patienten mit Baselinewert; n: Anzahl der Patienten mit Baselinewert in der Analyse</p>			

**35.7.1.01.01.1. Veränderung der 6MWD: Mittelwertveränderungsplots der Subgruppen**

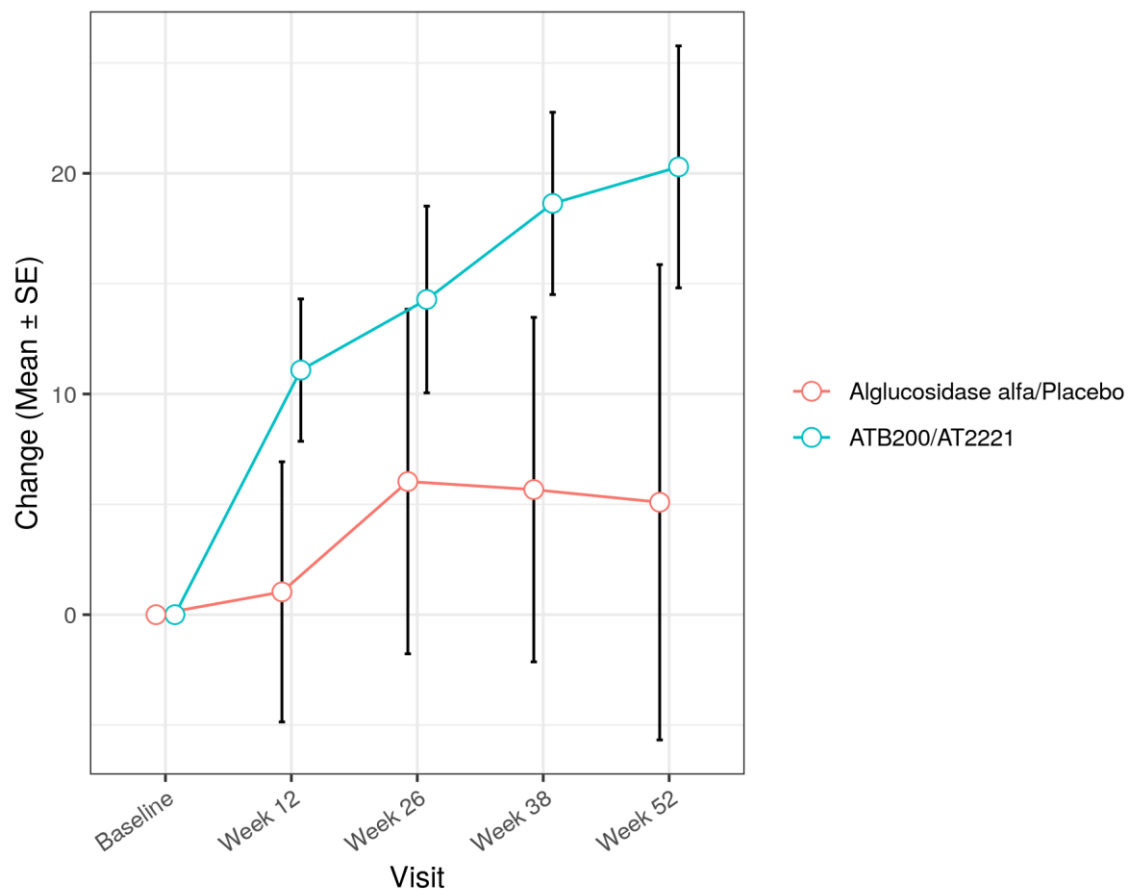
**35.7.1.01.01.1. Veränderung der 6MWD Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 01\_1**

35.7.1.01.01 01\_1



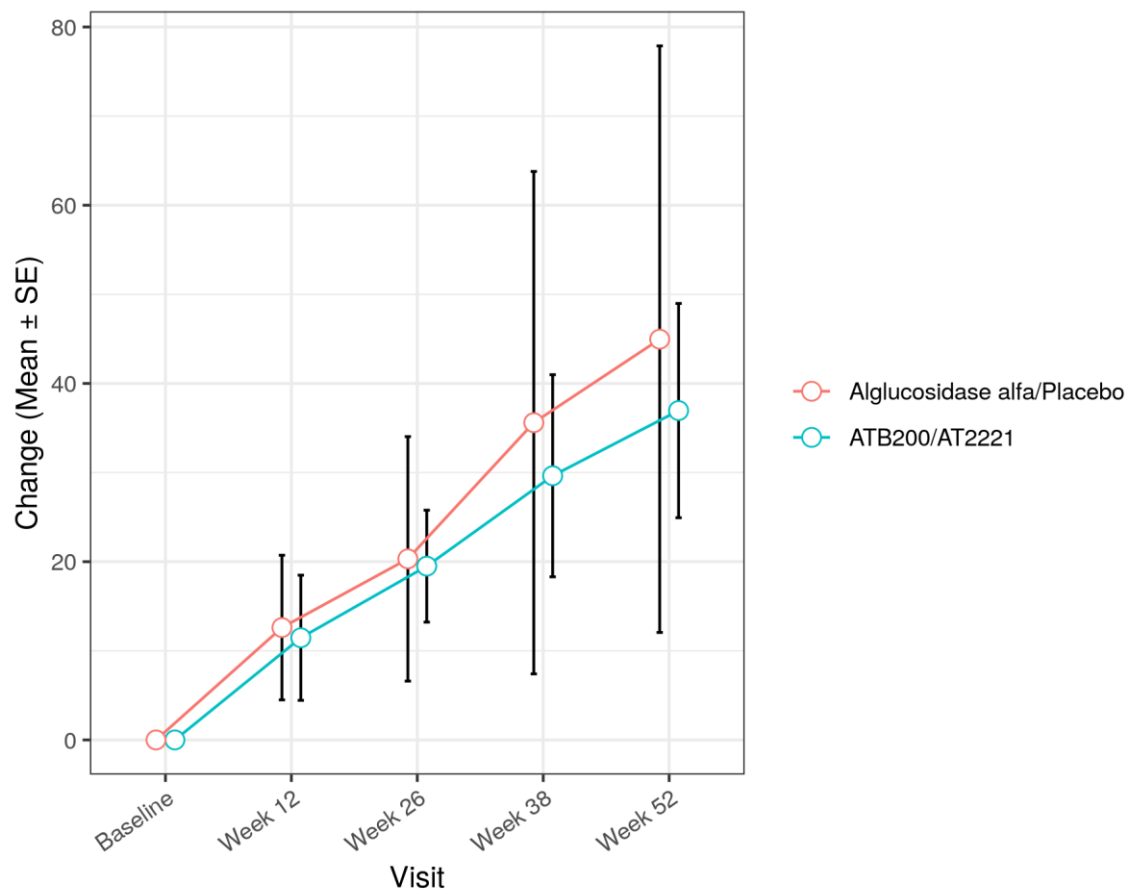
**35.7.1.01.01.1. Veränderung der 6MWD Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 01\_2**

35.7.1.01.01 01\_2



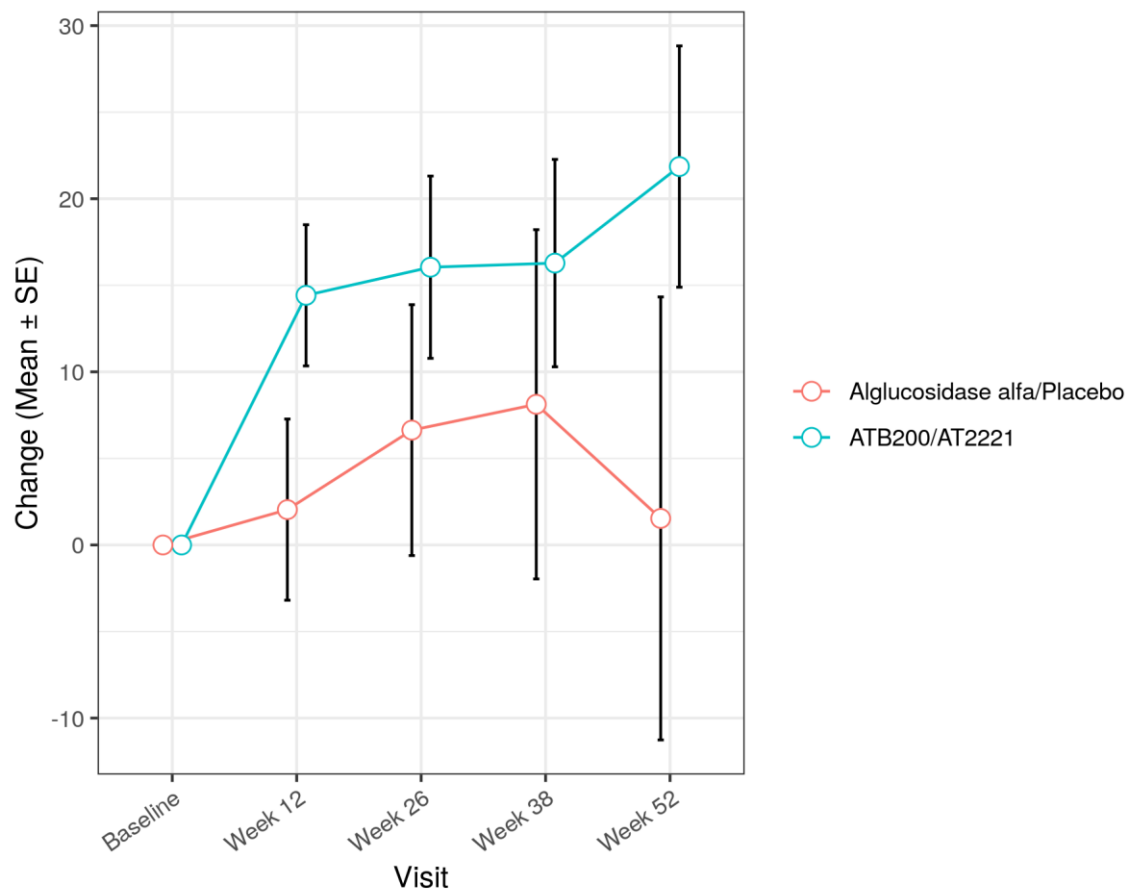
**35.7.1.01.01.1. Veränderung der 6MWD Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 03\_1**

35.7.1.01.01 03\_1

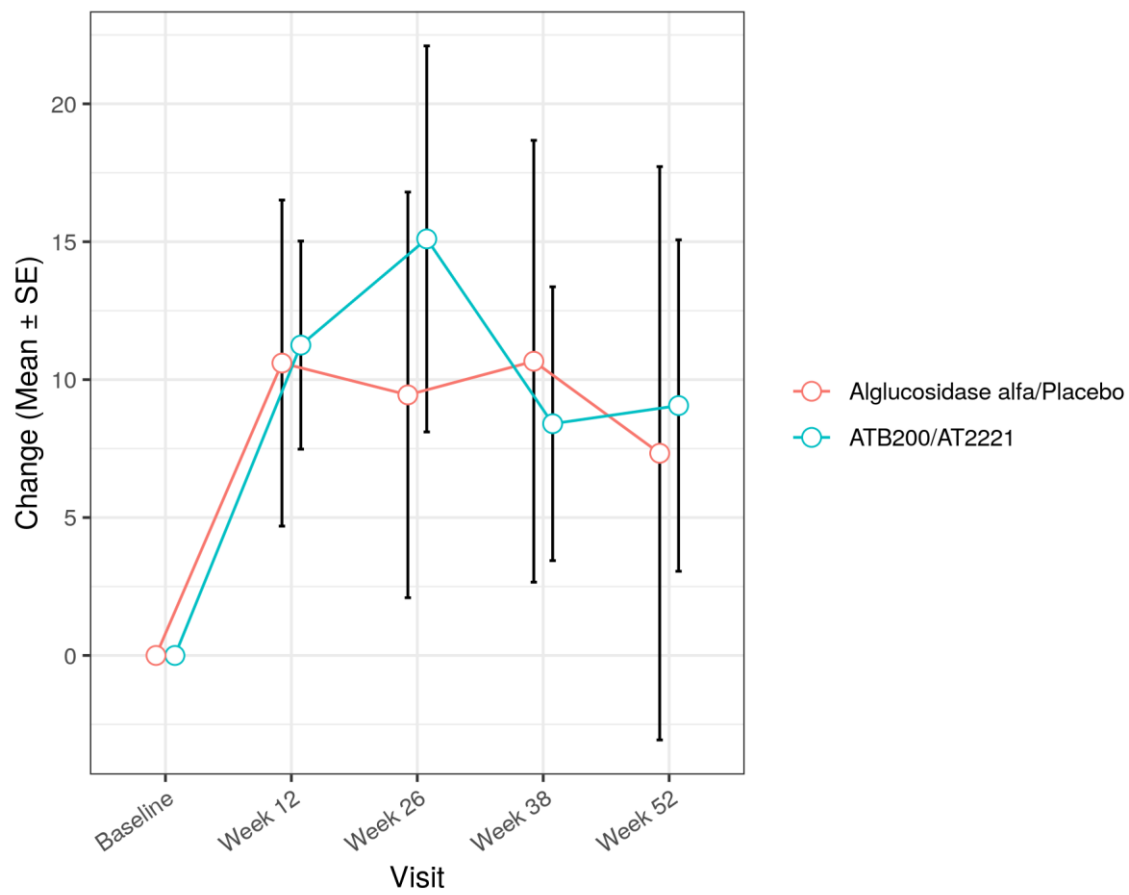


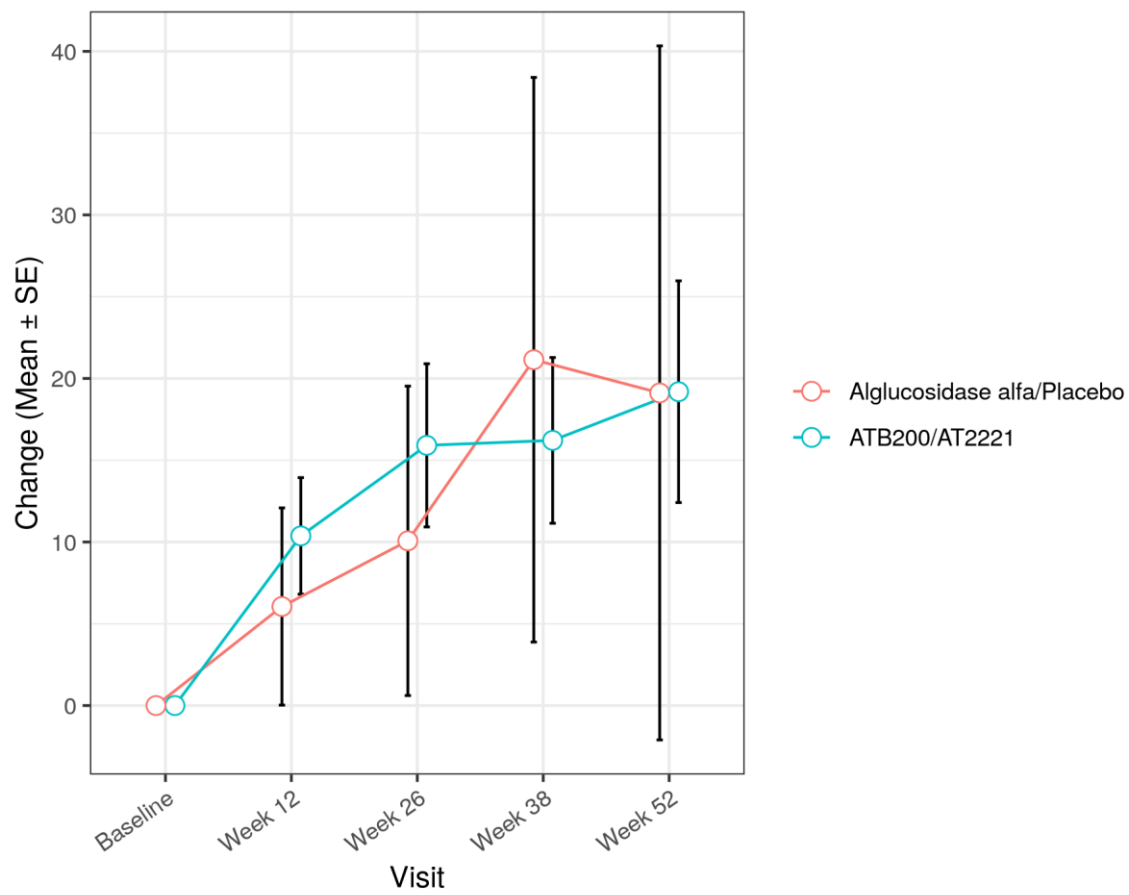
**35.7.1.01.01.1. Veränderung der 6MWD Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 03\_2**

**35.7.1.01.01 03\_2**



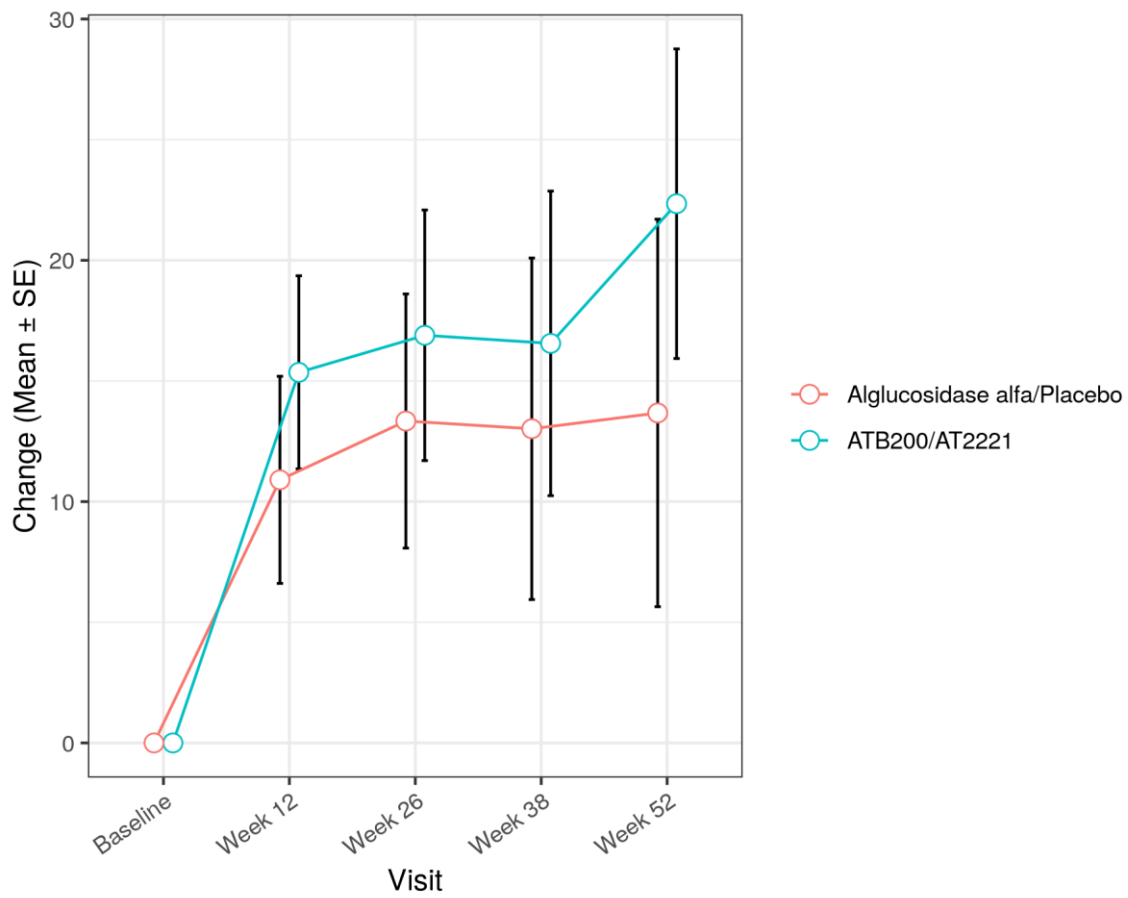


**35.7.1.01.01.1. Veränderung der 6MWD Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 03\_3****35.7.1.01.01 03\_3**

**35.7.1.01.01.1. Veränderung der 6MWD Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 07\_1****35.7.1.01.01 07\_1**

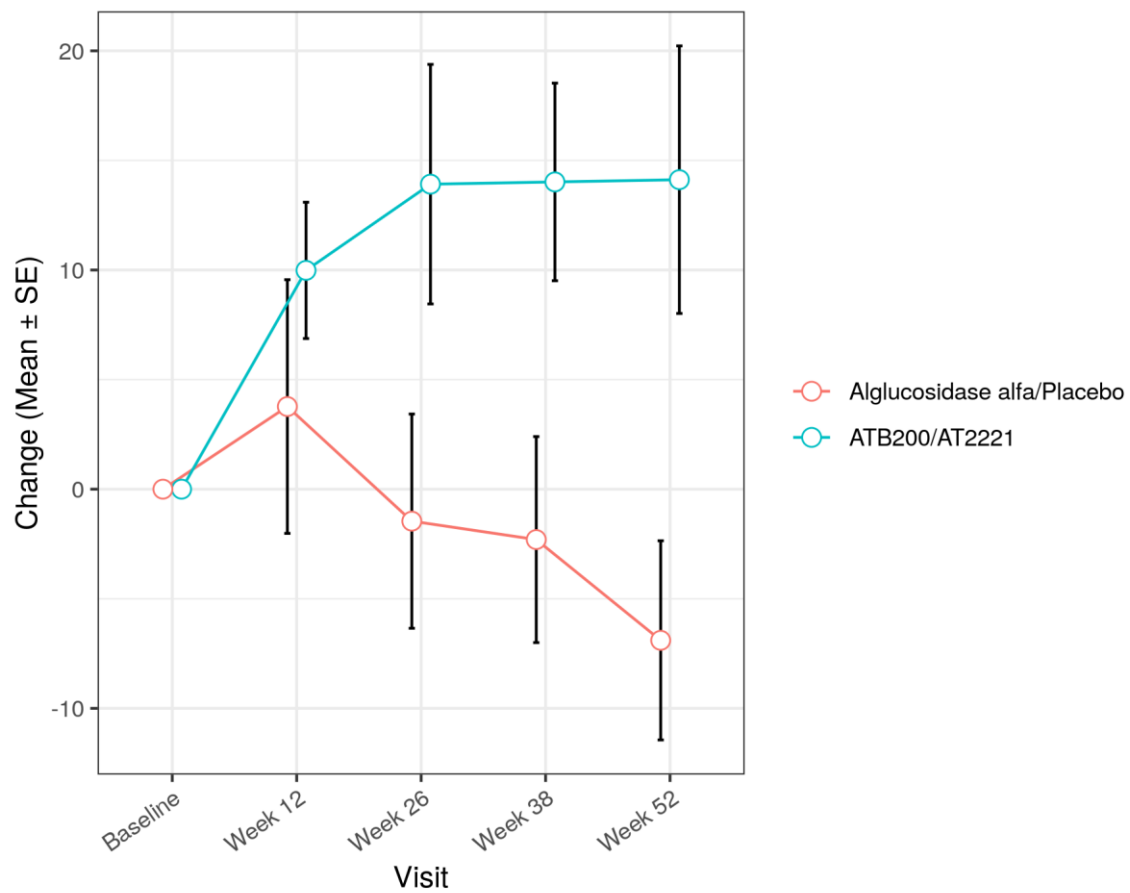
**35.7.1.01.01.1. Veränderung der 6MWD Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 07\_2**

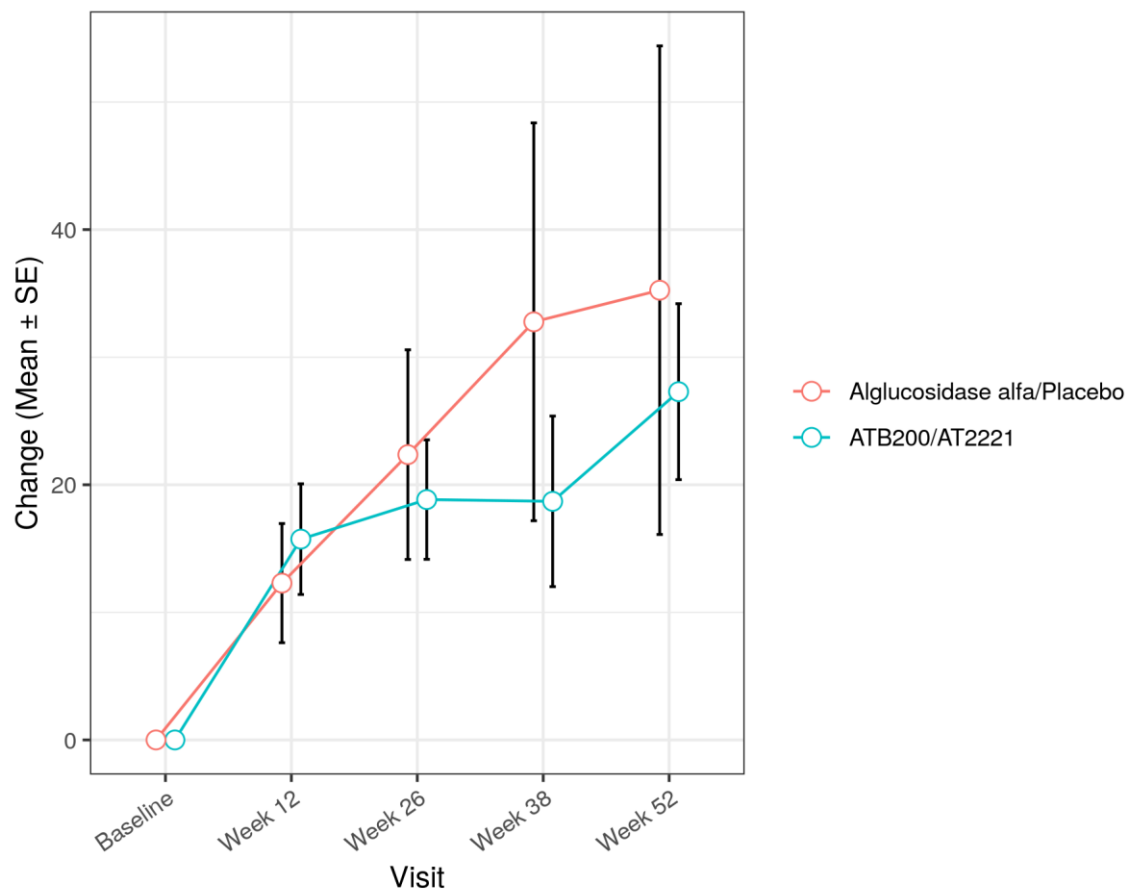
**35.7.1.01.01 07\_2**



**35.7.1.01.01.1. Veränderung der 6MWD Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 08\_1**

**35.7.1.01.01 08\_1**



**35.7.1.01.01.1. Veränderung der 6MWD Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 08\_2****35.7.1.01.01 08\_2**

**35.7.1.01.05.2. Verbesserung der 6MWD gegenüber Baseline MID = 6 %****35.7.1.01.05.2. Verbesserung der 6MWD gegenüber Baseline MID = 6 %: Interaktionstest**

<b>Verbesserung der 6MWD gegenüber Baseline MID = 6 %: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,4709
02	0,8043
03	0,6673
04	0,4779
05	0,1062
06	0,7928
07	0,5829
08	0,0038
09	0,1385
10	0,4038

*<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.*

**35.7.1.01.05.2. Verbesserung der 6MWD gegenüber Baseline MID = 6 %:  
Subgruppenanalyse**

<b>Verbesserung der 6MWD gegenüber Baseline MID = 6 %</b>			
		<b>Cipaglusosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>01</b>			
1	N	36	20
	Ereignisse, n (%)	12 (33)	5 (25)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,57 [0,637; 3,879] p = 0,3269	
2	N	49	18
	Ereignisse, n (%)	25 (51)	4 (22)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	2,06 [0,830; 5,109] p = 0,1195	
<b>02</b>			
<b>03</b>			
1	N	16	11
	Ereignisse, n (%)	7 (44)	4 (36)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,60 [0,542; 4,720] p = 0,3945	
2	N	43	12
	Ereignisse, n (%)	20 (47)	3 (25)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	2,28 [0,831; 6,249] p = 0,1095	
3	N	26	15
	Ereignisse, n (%)	10 (38)	2 (13)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	2,43 [0,624; 9,431] p = 0,2011	
<b>04</b>			
<b>05</b>			
<b>06</b>			
<b>07</b>			
1	N	42	19
	Ereignisse, n (%)	20 (48)	4 (21)

<b>Verbesserung der 6MWD gegenüber Baseline MID = 6 %</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	2,19 [0,893; 5,358] p = 0,0868	
2	N	43	19
	Ereignisse, n (%)	17 (40)	5 (26)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,54 [0,657; 3,590] p = 0,3221	
<b>08</b>			
1	N	42	17
	Ereignisse, n (%)	17 (40)	0 (0)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	3,58 [1,090; 11,756] p = 0,0355	
2	N	43	21
	Ereignisse, n (%)	20 (47)	9 (43)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,14 [0,628; 2,057] p = 0,6717	
<b>09</b>			
<b>10</b>			
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach den zwei Faktoren „Baseline 6MWD“ und „ERT Status“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>			



**35.7.1.01.06.2. Keine Veränderung der 6MWD gegenüber Baseline MID 6 %****35.7.1.01.06.2. Keine Veränderung der 6MWD gegenüber Baseline MID 6 %: Interaktionstest**

<b>Keine Veränderung der 6MWD gegenüber Baseline MID 6 %: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,7913
02	0,6485
03	0,7287
04	0,1135
05	0,8478
06	0,5932
07	0,4916
08	0,0785
09	0,7869
10	0,6376

<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.

**35.7.1.01.06.2. Keine Veränderung der 6MWD gegenüber Baseline MID 6 %: Subgruppenanalyse**

<b>Keine Veränderung der 6MWD gegenüber Baseline MID 6 %</b>			
		<b>Cipaglusosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>01</b>			
1	N	36	20
	Ereignisse, n (%)	18 (50)	11 (55)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,77 [0,468; 1,267] p = 0,3033	
2	N	49	18
	Ereignisse, n (%)	17 (35)	8 (44)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,88 [0,478; 1,608] p = 0,6706	
<b>02</b>			
<b>03</b>			
1	N	16	11
	Ereignisse, n (%)	9 (56)	5 (45)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,08 [0,535; 2,192] p = 0,8238	
2	N	43	12
	Ereignisse, n (%)	15 (35)	5 (42)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,69 [0,357; 1,332] p = 0,2678	
3	N	26	15
	Ereignisse, n (%)	11 (42)	9 (60)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,77 [0,433; 1,364] p = 0,3679	
<b>04</b>			
<b>05</b>			
<b>06</b>			
<b>07</b>			
1	N	42	19
	Ereignisse, n (%)	13 (31)	9 (47)

<b>Keine Veränderung der 6MWD gegenüber Baseline MID 6 %</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,63 [0,339; 1,173] p = 0,1456	
2	N	43	19
	Ereignisse, n (%)	22 (51)	10 (53)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,97 [0,592; 1,589] p = 0,9044	
<b>08</b>			
1	N	42	17
	Ereignisse, n (%)	15 (36)	12 (71)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,43 [0,243; 0,760] p = 0,0037	
2	N	43	21
	Ereignisse, n (%)	20 (47)	7 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,32 [0,703; 2,494] p = 0,3845	
<b>09</b>			
<b>10</b>			
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach den zwei Faktoren „Baseline 6MWD“ und „ERT Status“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>			

**35.7.1.01.07.2. Verschlechterung der 6MWD gegenüber Baseline MID = 6 %****35.7.1.01.07.2. Verschlechterung der 6MWD gegenüber Baseline MID = 6 %:  
Interaktionstest**

<b>Verschlechterung der 6MWD gegenüber Baseline MID = 6 %: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,4337
02	0,6370
03	0,2858
04	0,0423
05	0,1391
06	0,1538
07	0,6264
08	0,2568
09	0,2863
10	0,0086

<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.

**35.7.1.01.07.2. Verschlechterung der 6MWD gegenüber Baseline MID = 6 %: Subgruppenanalyse**

Verschlechterung der 6MWD gegenüber Baseline MID = 6 %			
		Cipaglusosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo
<b>01</b>			
1	N	36	20
	Ereignisse, n (%)	18 (50)	11 (55)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,77 [0,468; 1,267] p = 0,3033	
2	N	49	18
	Ereignisse, n (%)	17 (35)	8 (44)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,88 [0,478; 1,608] p = 0,6706	
<b>02</b>			
<b>03</b>			
1	N	16	11
	Ereignisse, n (%)	9 (56)	5 (45)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,08 [0,535; 2,192] p = 0,8238	
2	N	43	12
	Ereignisse, n (%)	15 (35)	5 (42)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,69 [0,357; 1,332] p = 0,2678	
3	N	26	15
	Ereignisse, n (%)	11 (42)	9 (60)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,77 [0,433; 1,364] p = 0,3679	
<b>04</b>			
<b>05</b>			
<b>06</b>			
<b>07</b>			
1	N	42	19
	Ereignisse, n (%)	13 (31)	9 (47)

<b>Verschlechterung der 6MWD gegenüber Baseline MID = 6 %</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,63 [0,339; 1,173] p = 0,1456	
2	N	43	19
	Ereignisse, n (%)	22 (51)	10 (53)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,97 [0,592; 1,589] p = 0,9044	
<b>08</b>			
1	N	42	17
	Ereignisse, n (%)	10 (24)	5 (29)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,04 [0,434; 2,469] p = 0,9375	
2	N	43	21
	Ereignisse, n (%)	3 (7)	5 (24)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,27 [0,058; 1,223] p = 0,0890	
<b>09</b>			
<b>10</b>			
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach den zwei Faktoren „Baseline 6MWD“ und „ERT Status“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>			

**35.7.1.01.08.2. Verbesserung der 6MWD gegenüber Baseline MID = 7 %****35.7.1.01.08.2. Verbesserung der 6MWD gegenüber Baseline MID = 7 %: Interaktionstest**

<b>Verbesserung der 6MWD gegenüber Baseline MID = 7 %: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,5096
02	0,6572
03	0,6457
04	0,5019
05	0,1182
06	0,8202
07	0,5694
08	0,0065
09	0,1494
10	0,3917

*<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.*

### 35.7.1.01.08.2. Verbesserung der 6MWD gegenüber Baseline MID = 7 %: Subgruppenanalyse

Verbesserung der 6MWD gegenüber Baseline MID = 7 %			
		Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo
<b>01</b>			
1	N	36	20
	Ereignisse, n (%)	11 (31)	5 (25)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,44 [0,586; 3,539] p = 0,4271	
2	N	49	18
	Ereignisse, n (%)	22 (45)	4 (22)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,80 [0,733; 4,428] p = 0,1992	
<b>02</b>			
<b>03</b>			
1	N	16	11
	Ereignisse, n (%)	6 (38)	4 (36)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,38 [0,476; 3,974] p = 0,5564	
2	N	43	12
	Ereignisse, n (%)	18 (42)	3 (25)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	2,06 [0,770; 5,501] p = 0,1503	
3	N	26	15
	Ereignisse, n (%)	9 (35)	2 (13)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	2,18 [0,550; 8,603] p = 0,2681	
<b>04</b>			
<b>05</b>			
<b>06</b>			
<b>07</b>			
1	N	42	19



<b>Verbesserung der 6MWD gegenüber Baseline MID = 7 %</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
	Ereignisse, n (%)	18 (43)	4 (21)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,97 [0,811; 4,802] p = 0,1342	
2	N	43	19
	Ereignisse, n (%)	15 (35)	5 (26)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,37 [0,584; 3,230] p = 0,4670	
<b>08</b>			
1	N	42	17
	Ereignisse, n (%)	14 (33)	0 (0)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	2,86 [0,839; 9,737] p = 0,0932	
2	N	43	21
	Ereignisse, n (%)	19 (44)	9 (43)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,10 [0,609; 1,985] p = 0,7529	
<b>09</b>			
<b>10</b>			
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach den zwei Faktoren „Baseline 6MWD“ und „ERT Status“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>			

**35.7.1.01.09.2. Keine Veränderung der 6MWD gegenüber Baseline MID 7 %****35.7.1.01.09.2. Keine Veränderung der 6MWD gegenüber Baseline MID 7 %:  
Interaktionstest**

<b>Keine Veränderung der 6MWD gegenüber Baseline MID 7 %: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,8595
02	0,5115
03	0,5924
04	0,1941
05	0,6937
06	0,7289
07	0,6532
08	0,2555
09	0,7026
10	0,9249
<i><sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

### 35.7.1.01.09.2. Keine Veränderung der 6MWD gegenüber Baseline MID 7 %: Subgruppenanalyse

Keine Veränderung der 6MWD gegenüber Baseline MID 7 %			
		Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo
<b>01</b>			
1	N	36	20
	Ereignisse, n (%)	21 (58)	13 (65)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,78 [0,530; 1,152] p = 0,2123	
2	N	49	18
	Ereignisse, n (%)	20 (41)	9 (50)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,91 [0,532; 1,553] p = 0,7264	
<b>02</b>			
<b>03</b>			
1	N	16	11
	Ereignisse, n (%)	10 (62)	6 (55)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,00 [0,576; 1,736] p = 1,0000	
2	N	43	12
	Ereignisse, n (%)	19 (44)	5 (42)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,89 [0,495; 1,616] p = 0,7123	
3	N	26	15
	Ereignisse, n (%)	12 (46)	11 (73)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,68 [0,418; 1,118] p = 0,1297	
<b>04</b>			
<b>05</b>			
<b>06</b>			
<b>07</b>			
1	N	42	19

<b>Keine Veränderung der 6MWD gegenüber Baseline MID 7 %</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidade alfa/Placebo</b>
	Ereignisse, n (%)	16 (38)	10 (53)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,69 [0,407; 1,169] p = 0,1674	
2	N	43	19
	Ereignisse, n (%)	25 (58)	12 (63)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,91 [0,604; 1,366] p = 0,6430	
<b>08</b>			
1	N	42	17
	Ereignisse, n (%)	20 (48)	13 (76)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,61 [0,407; 0,917] p = 0,0173	
2	N	43	21
	Ereignisse, n (%)	21 (49)	9 (43)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,06 [0,621; 1,796] p = 0,8396	
<b>09</b>			
<b>10</b>			
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach den zwei Faktoren „Baseline 6MWD“ und „ERT Status“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>			

**35.7.1.01.10.2. Verschlechterung der 6MWD gegenüber Baseline MID = 7 %****35.7.1.01.10.2. Verschlechterung der 6MWD gegenüber Baseline MID = 7 %:  
Interaktionstest**

<b>Verschlechterung der 6MWD gegenüber Baseline MID = 7 %: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,4551
02	0,6477
03	0,2509
04	0,0502
05	0,1666
06	0,3502
07	0,9349
08	0,6198
09	0,5443
10	0,0237

<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.

### 35.7.1.01.10.2. Verschlechterung der 6MWD gegenüber Baseline MID = 7 %: Subgruppenanalyse

Verschlechterung der 6MWD gegenüber Baseline MID = 7 %			
		Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo
<b>01</b>			
1	N	36	20
	Ereignisse, n (%)	11 (31)	5 (25)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,44 [0,586; 3,539] p = 0,4271	
2	N	49	18
	Ereignisse, n (%)	22 (45)	4 (22)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,80 [0,733; 4,428] p = 0,1992	
<b>02</b>			
<b>03</b>			
1	N	16	11
	Ereignisse, n (%)	6 (38)	4 (36)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,38 [0,476; 3,974] p = 0,5564	
2	N	43	12
	Ereignisse, n (%)	18 (42)	3 (25)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	2,06 [0,770; 5,501] p = 0,1503	
3	N	26	15
	Ereignisse, n (%)	9 (35)	2 (13)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	2,18 [0,550; 8,603] p = 0,2681	
<b>04</b>			
<b>05</b>			
<b>06</b>			
<b>07</b>			
1	N	42	19

<b>Verschlechterung der 6MWD gegenüber Baseline MID = 7 %</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
	Ereignisse, n (%)	18 (43)	4 (21)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,97 [0,811; 4,802] p = 0,1342	
2	N	43	19
	Ereignisse, n (%)	15 (35)	5 (26)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,37 [0,584; 3,230] p = 0,4670	
<b>08</b>			
1	N	42	17
	Ereignisse, n (%)	14 (33)	0 (0)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	2,86 [0,839; 9,737] p = 0,0932	
2	N	43	21
	Ereignisse, n (%)	19 (44)	9 (43)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,10 [0,609; 1,985] p = 0,7529	
<b>09</b>			
<b>10</b>			
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach den zwei Faktoren „Baseline 6MWD“ und „ERT Status“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>			

**Forced Vital Capacity (FVC)****35.7.1.02****35.7.1.02.01.1. Veränderung der FVC****35.7.1.02.01.1. Veränderung der FVC: Interaktionstest**

<b>Veränderung der FVC: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,0112
02	0,0823
03	0,8919
04	0,9430
05	0,0001
06	0,0118
07	0,0047
08	0,1603
09	0,0005
10	< 0,0001

<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.

In dem Interaktionstest bei Subgruppe 09 ERT-Dauer wird die Variable ERT-Status aus dem Model entfernt, da es keine Dauer der ERT Behandlung für ERT naive Patienten gibt



**35.7.1.02.01.1. Veränderung der FVC: Subgruppenanalyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>Veränderung der FVC</b>			
Baseline-Werte			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	35/36 (97)	20/20 (100)	-
MW (SD)	68,53 (19,011)	67,88 (21,091)	
2			
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	-
MW (SD)	72,33 (20,206)	72,44 (21,880)	
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	-
MW (SD)	67,69 (18,679)	68,05 (20,526)	
2			
n/N (%)	42/43 (98)	12/12 (100)	-
MW (SD)	74,80 (20,104)	75,71 (18,539)	
3			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	-
MW (SD)	66,08 (18,942)	66,97 (24,235)	
<b>07</b>			
1			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Alglucosidade alfa/Placebo	
<b>N</b>	<b>85</b>	<b>38</b>	-
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	-
MW (SD)	67,76 (20,109)	66,29 (21,341)	
<b>2</b>			
n/N (%)	42/43 (98)	19/19 (100)	-
MW (SD)	73,73 (19,035)	73,79 (21,155)	
<b>08</b>			
<b>1</b>			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	-
MW (SD)	54,76 (10,017)	50,15 (9,369)	
<b>2</b>			
n/N (%)	42/43 (98)	21/21 (100)	-
MW (SD)	86,73 (12,698)	86,14 (12,670)	
Änderung zu Woche 12			
<b>01</b>			
<b>1</b>			
n/N (%)	35/36 (97)	20/20 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,40 (4,369)	0,23 (4,689)	0,04 [-0,511; 0,588]
LS MW (SE)	0,32 (0,751)	0,36 (1,007)	LS MD
95 %-KI	-1,185; 1,834	-1,669; 2,382	-0,03 [-2,617; 2,553] 0,9802
<b>2</b>			
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	0,65 (6,020)	-2,17 (3,698)	0,51 [-0,041; 1,053]
LS MW (SE)	0,83 (0,776)	-2,66 (1,310)	LS MD
95 %-KI	-0,718; 2,386	-5,278; -0,039	3,49 [0,389; 6,594] 0,0280
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,75 (4,698)	0,05 (5,022)	0,14 [-0,627; 0,910]
LS MW (SE)	1,13 (1,112)	-0,51 (1,377)	LS MD
95 %-KI	-1,194; 3,460	-3,394; 2,371	1,64 [-2,308; 5,597] 0,3947
2			
n/N (%)	42/43 (98)	12/12 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,21 (5,978)	-2,04 (3,158)	0,40 [-0,242; 1,050]
LS MW (SE)	0,24 (0,818)	-2,11 (1,538)	LS MD
95 %-KI	-1,411; 1,881	-5,211; 0,982	2,35 [-1,170; 5,868] 0,1856
3			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,96 (4,833)	-0,70 (4,754)	0,34 [-0,301; 0,979]
LS MW (SE)	1,13 (0,969)	-1,00 (1,299)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-0,839; 3,103	-3,638; 1,647	2,13 [-1,270; 5,526] 0,2116
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,90 (6,223)	-1,92 (4,589)	0,48 [-0,066; 1,032]
LS MW (SE)	1,07 (0,907)	-2,29 (1,380)	LS MD
95 %-KI	-0,746; 2,893	-5,063; 0,474	3,37 [-0,030; 6,767] 0,0520
2			
n/N (%)	42/43 (98)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,19 (4,394)	0,11 (3,988)	0,02 [-0,522; 0,562]
LS MW (SE)	0,22 (0,679)	0,04 (1,018)	LS MD
95 %-KI	-1,143; 1,581	-2,000; 2,084	0,18 [-2,301; 2,654] 0,8867
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,40 (5,042)	-1,09 (4,090)	0,31 [-0,259; 0,874]
LS MW (SE)	0,42 (0,752)	-1,12 (1,200)	LS MD
95 %-KI	-1,092; 1,926	-3,528; 1,290	1,54 [-1,349; 4,421] 0,2902

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
2			
n/N (%)	42/43 (98)	21/21 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,69 (5,730)	-0,76 (4,668)	0,27 [-0,261; 0,791]
LS MW (SE)	0,72 (0,829)	-0,83 (1,194)	LS MD
95 %-KI	-0,940; 2,384	-3,217; 1,567	1,55 [-1,433; 4,527] 0,3027
Änderung zu Woche 26			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	34/36 (94)	20/20 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-1,18 (6,430)	-1,77 (5,490)	0,10 [-0,456; 0,649]
LS MW (SE)	-1,67 (0,951)	-0,93 (1,257)	LS MD
95 %-KI	-3,585; 0,242	-3,462; 1,594	-0,74 [-3,983; 2,507] 0,6494
2			
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,45 (5,249)	-3,11 (5,556)	0,49 [-0,053; 1,041]
LS MW (SE)	-0,31 (0,781)	-3,50 (1,318)	LS MD
95 %-KI	-1,870; 1,254	-6,132; -0,859	3,19 [0,065; 6,310] 0,0456
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	-1,00 (6,191)	-2,50 (6,477)	0,23 [-0,540; 1,001]
LS MW (SE)	-1,54 (1,263)	-1,72 (1,565)	LS MD
95 %-KI	-4,182; 1,107	-4,994; 1,557	0,18 [-4,311; 4,673] 0,9336
2			
n/N (%)	41/43 (95)	12/12 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,63 (4,641)	-2,21 (3,634)	0,35 [-0,298; 0,996]
LS MW (SE)	-0,69 (0,634)	-2,02 (1,180)	LS MD
95 %-KI	-1,967; 0,586	-4,392; 0,362	1,32 [-1,386; 4,035] 0,3302
3			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,77 (7,098)	-2,50 (6,262)	0,25 [-0,389; 0,887]
LS MW (SE)	-0,82 (1,413)	-2,42 (1,895)	LS MD
95 %-KI	-3,692; 2,058	-6,272; 1,437	1,60 [-3,356; 6,558] 0,5157
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,79 (7,332)	-3,34 (6,675)	0,35 [-0,192; 0,899]
LS MW (SE)	-0,74 (1,091)	-3,45 (1,660)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-2,924; 1,453	-6,784; -0,123	2,72 [-1,369; 6,806] 0,1880
2			
n/N (%)	41/43 (95)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,71 (3,512)	-1,47 (3,939)	0,21 [-0,338; 0,753]
LS MW (SE)	-0,78 (0,559)	-1,32 (0,828)	LS MD
95 %-KI	-1,901; 0,341	-2,978; 0,344	0,54 [-1,486; 2,560] 0,5966
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,29 (5,817)	-2,56 (5,211)	0,40 [-0,172; 0,965]
LS MW (SE)	-0,28 (0,863)	-2,58 (1,378)	LS MD
95 %-KI	-2,009; 1,456	-5,347; 0,185	2,30 [-1,007; 5,616] 0,1684
2			
n/N (%)	41/43 (95)	21/21 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-1,22 (5,683)	-2,29 (5,828)	0,18 [-0,343; 0,711]
LS MW (SE)	-1,24 (0,906)	-2,24 (1,288)	LS MD
95 %-KI	-3,062; 0,572	-4,818; 0,346	0,99 [-2,239; 4,222] 0,5409
Änderung zu Woche 38			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	34/36 (94)	20/20 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-1,97 (5,065)	-2,33 (5,280)	0,07 [-0,485; 0,620]
LS MW (SE)	-2,31 (0,866)	-1,74 (1,144)	LS MD
95 %-KI	-4,054; -0,569	-4,047; 0,557	-0,57 [-3,522; 2,388] 0,7012
2			
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,24 (5,457)	-1,78 (6,704)	0,26 [-0,281; 0,803]
LS MW (SE)	-0,22 (0,866)	-1,84 (1,462)	LS MD
95 %-KI	-1,955; 1,510	-4,763; 1,085	1,62 [-1,847; 5,079] 0,3542
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-1,19 (4,498)	-1,59 (6,741)	0,07 [-0,697; 0,839]
LS MW (SE)	-1,55 (1,279)	-1,06 (1,585)	LS MD
95 %-KI	-4,229; 1,126	-4,378; 2,255	-0,49 [-5,037; 4,058] 0,8242
2			
n/N (%)	41/43 (95)	12/12 (100)	Hedges` g



PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	-0,88 (5,851)	-0,79 (5,520)	-0,01 [-0,658; 0,629]
LS MW (SE)	-1,00 (0,843)	-0,38 (1,570)	LS MD
95 %-KI	-2,696; 0,702	-3,547; 2,779	-0,61 [-4,220; 2,993] 0,7337
3			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,92 (5,145)	-3,43 (5,713)	0,46 [-0,184; 1,104]
LS MW (SE)	-1,06 (1,011)	-3,19 (1,355)	LS MD
95 %-KI	-3,121; 0,992	-5,946; -0,431	2,12 [-1,421; 5,671] 0,2315
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,52 (5,934)	-2,92 (6,550)	0,39 [-0,160; 0,933]
LS MW (SE)	-0,58 (0,997)	-2,80 (1,518)	LS MD
95 %-KI	-2,579; 1,422	-5,844; 0,244	2,22 [-1,515; 5,957] 0,2384
2			
n/N (%)	41/43 (95)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-1,39 (4,682)	-1,21 (5,253)	-0,04 [-0,580; 0,508]
LS MW (SE)	-1,59 (0,734)	-0,77 (1,086)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-3,067; -0,123	-2,949; 1,411	-0,83 [-3,481; 1,830] 0,5354
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,43 (5,386)	-2,68 (5,160)	0,42 [-0,152; 0,985]
LS MW (SE)	-0,32 (0,856)	-2,94 (1,367)	LS MD
95 %-KI	-2,039; 1,398	-5,687; -0,200	2,62 [-0,662; 5,909] 0,1150
2			
n/N (%)	41/43 (95)	21/21 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-1,49 (5,299)	-1,57 (6,554)	0,01 [-0,512; 0,540]
LS MW (SE)	-1,90 (0,849)	-0,76 (1,207)	LS MD
95 %-KI	-3,604; -0,199	-3,182; 1,656	-1,14 [-4,165; 1,888] 0,4540
Änderung zu Woche 52			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	35/36 (97)	20/20 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-1,47 (6,164)	-3,02 (5,990)	0,25 [-0,301; 0,803]
LS MW (SE)	-1,97 (0,978)	-2,15 (1,312)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-3,939; -0,007	-4,784; 0,491	0,17 [-3,193; 3,540] 0,9178
2			
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,55 (6,314)	-4,33 (4,137)	0,64 [0,090; 1,194]
LS MW (SE)	-0,52 (0,849)	-4,43 (1,433)	LS MD
95 %-KI	-2,213; 1,183	-7,297; -1,565	3,92 [0,521; 7,310] 0,0245
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,00 (5,410)	-2,59 (4,737)	0,49 [-0,293; 1,268]
LS MW (SE)	-0,51 (1,044)	-1,85 (1,293)	LS MD
95 %-KI	-2,695; 1,675	-4,556; 0,858	1,34 [-2,373; 5,051] 0,4595
2			
n/N (%)	42/43 (98)	12/12 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,82 (5,261)	-4,21 (6,737)	0,60 [-0,057; 1,247]
LS MW (SE)	-0,89 (0,811)	-3,97 (1,526)	LS MD
95 %-KI	-2,522; 0,744	-7,045; -0,900	3,08 [-0,408; 6,576] 0,0820
3			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-1,69 (8,049)	-3,97 (4,207)	0,32 [-0,317; 0,962]
LS MW (SE)	-1,85 (1,308)	-3,70 (1,754)	LS MD
95 %-KI	-4,510; 0,813	-7,264; -0,128	1,85 [-2,741; 6,436] 0,4186
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,02 (6,452)	-4,87 (6,245)	0,75 [0,189; 1,308]
LS MW (SE)	-0,14 (1,005)	-4,62 (1,530)	LS MD
95 %-KI	-2,152; 1,881	-7,690; -1,553	4,49 [0,719; 8,252] 0,0205
2			
n/N (%)	42/43 (98)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-1,85 (5,939)	-2,42 (3,576)	0,11 [-0,436; 0,649]
LS MW (SE)	-1,97 (0,792)	-2,15 (1,187)	LS MD
95 %-KI	-3,554; -0,378	-4,536; 0,226	0,19 [-2,699; 3,078] 0,8960
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,12 (6,562)	-3,56 (3,349)	0,58 [0,007; 1,155]

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
LS MW (SE)	-0,07 (0,909)	-3,67 (1,451)	LS MD
95 %-KI	-1,897; 1,752	-6,586; -0,761	3,60 [0,113; 7,089] 0,0433
2			
n/N (%)	42/43 (98)	21/21 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-1,75 (5,847)	-3,71 (6,361)	0,32 [-0,205; 0,849]
LS MW (SE)	-2,11 (0,902)	-2,98 (1,299)	LS MD
95 %-KI	-3,923; -0,306	-5,588; -0,382	0,87 [-2,372; 4,112] 0,5928
<p><sup>a</sup>Die Veränderung der Punktwerte gegenüber Baseline plus 95 %-KI und p-Wert zu jedem spezifizierten Zeitpunkt wurden mit einer ANCOVA, stratifiziert nach Geschlecht, Alter, Gewicht und Größe zu Baseline und ERT-Status mit dem Baseline-Wert der jeweiligen Skala als Kovariate auf Basis der Mittelwerte der kleinsten Quadrate analysiert.durch die gepoolte Standardabweichung.</p> <p>ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; LS MD: Mittelwertdifferenz der kleinsten Quadrate; LS MW (SE): Mittelwert der kleinsten Quadrate (Standardfehler); MW (SD): Mittelwert (Standardabweichung); N: Patienten mit Baselinewert; n: Anzahl der Patienten mit Baselinewert in der Analyse</p>			

**35.7.1.02.02.2. Verbesserung der FVC (% des Vorhersagewerts) gegenüber Baseline im Sitzen MID = 3 %****35.7.1.02.02.2. Verbesserung der FVC (% des Vorhersagewerts) gegenüber Baseline im Sitzen MID = 3 %: Interaktionstest**

<b>Verbesserung der FVC (% des Vorhersagewerts) gegenüber Baseline im Sitzen MID = 3 %: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,1926
02	0,9008
03	0,2841
04	0,5725
05	0,0632
06	0,5655
07	0,3530
08	0,2174
09	0,3336
10	0,4577

<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.

**35.7.1.02.02.2. Verbesserung der FVC (% des Vorhersagewerts) gegenüber Baseline im Sitzen MID = 3 %: Subgruppenanalyse**

<b>Verbesserung der FVC (% des Vorhersagewerts) gegenüber Baseline im Sitzen MID = 3 %</b>			
		<b>Cipaglusidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>01</b>			
1	N	36	20
	Ereignisse, n (%)	7 (19)	1 (5)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	5,82 [0,452; 74,903] p = 0,1770	
2	N	49	18
	Ereignisse, n (%)	15 (31)	0 (0)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	3,09 [0,902; 10,572] p = 0,0725	
<b>02</b>			
<b>03</b>			
<b>04</b>			
<b>05</b>			
<b>06</b>			
<b>07</b>			
1	N	42	19
	Ereignisse, n (%)	14 (33)	1 (5)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	6,35 [0,996; 40,479] p = 0,0506	
2	N	43	19
	Ereignisse, n (%)	8 (19)	0 (0)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	2,46 [0,587; 10,277] p = 0,2188	
<b>08</b>			
1	N	42	17
	Ereignisse, n (%)	13 (31)	0 (0)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	2,96 [0,878; 9,979] p = 0,0802	
2	N	43	21

<b>Verbesserung der FVC (% des Vorhersagewerts) gegenüber Baseline im Sitzen MID = 3 %</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidade alfa/Placebo</b>
	Ereignisse, n (%)	9 (21)	1 (5)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	4,60 [0,588; 35,987] p = 0,1460	
<b>09</b>			
<b>10</b>			
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach den zwei Faktoren „Baseline 6MWD“ und „ERT Status“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>			



**35.7.1.02.03.2. Keine Veränderung der FVC (% des Vorhersagewerts) gegenüber Baseline im Sitzen MID = 3 %****35.7.1.02.03.2. Keine Veränderung der FVC (% des Vorhersagewerts) gegenüber Baseline im Sitzen MID = 3 %: Interaktionstest**

<b>Keine Veränderung der FVC (% des Vorhersagewerts) gegenüber Baseline im Sitzen MID = 3 %: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,7023
02	0,8404
03	0,3439
04	0,7890
05	0,3458
06	0,4250
07	0,7857
08	0,8640
09	0,3697
10	0,0143

<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.

**35.7.1.02.03.2. Keine Veränderung der FVC (% des Vorhersagewerts) gegenüber Baseline im Sitzen MID = 3 %: Subgruppenanalyse**

<b>Keine Veränderung der FVC (% des Vorhersagewerts) gegenüber Baseline im Sitzen MID = 3 %</b>			
		<b>Cipaglucosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>01</b>			
1	N	36	20
	Ereignisse, n (%)	15 (42)	9 (45)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,80 [0,471; 1,366] p = 0,4161	
2	N	49	18
	Ereignisse, n (%)	16 (33)	8 (44)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,76 [0,388; 1,489] p = 0,4241	
<b>02</b>			
<b>03</b>			
1	N	16	11
	Ereignisse, n (%)	8 (50)	4 (36)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,59 [0,739; 3,414] p = 0,2362	
2	N	43	12
	Ereignisse, n (%)	18 (42)	6 (50)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,77 [0,404; 1,468] p = 0,4275	
3	N	26	15
	Ereignisse, n (%)	5 (19)	7 (47)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,48 [0,193; 1,195] p = 0,1148	
<b>04</b>			
<b>05</b>			
<b>06</b>			
<b>07</b>			
1	N	42	19
	Ereignisse, n (%)	12 (29)	6 (32)

<b>Keine Veränderung der FVC (% des Vorhersagewerts) gegenüber Baseline im Sitzen MID = 3 %</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidade alfa/Placebo</b>
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,84 [0,362; 1,927] p = 0,6738	
2	N	43	19
	Ereignisse, n (%)	19 (44)	11 (58)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,77 [0,459; 1,294] p = 0,3240	
<b>08</b>			
1	N	42	17
	Ereignisse, n (%)	15 (36)	7 (41)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,77 [0,389; 1,524] p = 0,4532	
2	N	43	21
	Ereignisse, n (%)	16 (37)	10 (48)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,73 [0,399; 1,353] p = 0,3225	
<b>09</b>			
<b>10</b>			
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach den zwei Faktoren „Baseline 6MWD“ und „ERT Status“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>			

**35.7.1.02.04.2. Verschlechterung der FVC (% des Vorhersagewerts) gegenüber Baseline im Sitzen MID = 3 %****35.7.1.02.04.2. Verschlechterung der FVC (% des Vorhersagewerts) gegenüber Baseline im Sitzen MID = 3 %: Interaktionstest**

<b>Verschlechterung der FVC (% des Vorhersagewerts) gegenüber Baseline im Sitzen MID = 3 %: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,7766
02	0,4149
03	0,7157
04	0,8559
05	0,1787
06	0,4256
07	0,5065
08	0,4425
09	0,2154
10	0,0178

<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.

**35.7.1.02.04.2. Verschlechterung der FVC (% des Vorhersagewerts) gegenüber Baseline im Sitzen MID = 3 %: Subgruppenanalyse**

<b>Verschlechterung der FVC (% des Vorhersagewerts) gegenüber Baseline im Sitzen MID = 3 %</b>			
		<b>Cipaglucosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>01</b>			
1	N	36	20
	Ereignisse, n (%)	14 (39)	10 (50)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,85 [0,444; 1,643] p = 0,6359	
2	N	49	18
	Ereignisse, n (%)	18 (37)	10 (56)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,60 [0,302; 1,209] p = 0,1549	
<b>02</b>			
<b>03</b>			
1	N	16	11
	Ereignisse, n (%)	4 (25)	6 (55)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,36 [0,131; 0,991] p = 0,0479	
2	N	43	12
	Ereignisse, n (%)	16 (37)	6 (50)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,84 [0,428; 1,647] p = 0,6100	
3	N	26	15
	Ereignisse, n (%)	12 (46)	8 (53)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,76 [0,392; 1,468] p = 0,4117	
<b>04</b>			
<b>05</b>			
<b>06</b>			
<b>07</b>			
1	N	42	19
	Ereignisse, n (%)	16 (38)	12 (63)

<b>Verschlechterung der FVC (% des Vorhersagewerts) gegenüber Baseline im Sitzen MID = 3 %</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,60 [0,345; 1,028] p = 0,0627	
2	N	43	19
	Ereignisse, n (%)	16 (37)	8 (42)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,87 [0,449; 1,701] p = 0,6914	
<b>08</b>			
1	N	42	17
	Ereignisse, n (%)	14 (33)	10 (59)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,61 [0,344; 1,066] p = 0,0820	
2	N	43	21
	Ereignisse, n (%)	18 (42)	10 (48)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,92 [0,472; 1,796] p = 0,8096	
<b>09</b>			
<b>10</b>			
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach den zwei Faktoren „Baseline 6MWD“ und „ERT Status“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>			

**Manual Muscle Test (MMT)****35.7.1.03****35.7.1.03.01.1. Veränderung der MMT-Werte über alle Muskeln in der Muskelgruppe der unteren Extremitäten****35.7.1.03.01.1. Veränderung der MMT-Werte über alle Muskeln in der Muskelgruppe der unteren Extremitäten: Interaktionstest**

<b>Veränderung der MMT-Werte über alle Muskeln in der Muskelgruppe der unteren Extremitäten: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,2191
02	0,0171
03	0,0208
04	0,3097
05	0,0160
06	0,3579
07	0,7518
08	0,0308
09	0,1269
10	0,7105

<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.

In dem Interaktionstest bei Subgruppe 09 ERT-Dauer wird die Variable ERT-Status aus dem Model entfernt, da es keine Dauer der ERT Behandlung für ERT naive Patienten gibt

**35.7.1.03.01.1. Veränderung der MMT-Werte über alle Muskeln in der Muskelgruppe der unteren Extremitäten: Subgruppenanalyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>Veränderung der MMT-Werte über alle Muskeln in der Muskelgruppe der unteren Extremitäten</b>			
Baseline-Werte			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	34/36 (94)	18/20 (90)	-
MW (SD)	29,21 (6,025)	29,67 (6,580)	
2			
n/N (%)	46/49 (94)	17/18 (94)	-
MW (SD)	27,40 (5,540)	26,06 (5,539)	
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	15/16 (94)	10/11 (91)	-
MW (SD)	28,22 (6,244)	27,90 (7,400)	
2			
n/N (%)	43/43 (100)	11/12 (92)	-
MW (SD)	27,85 (5,902)	29,64 (6,485)	
3			
n/N (%)	22/26 (85)	14/15 (93)	-
MW (SD)	28,75 (5,447)	26,57 (5,331)	
<b>07</b>			



PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
1			
n/N (%)	38/42 (90)	17/19 (89)	-
MW (SD)	25,25 (5,093)	26,00 (6,946)	
2			
n/N (%)	42/43 (98)	18/19 (95)	-
MW (SD)	30,81 (5,100)	29,72 (5,131)	
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	39/42 (93)	15/17 (88)	-
MW (SD)	27,57 (5,555)	25,93 (5,725)	
2			
n/N (%)	41/43 (95)	20/21 (95)	-
MW (SD)	28,74 (6,006)	29,40 (6,402)	
Änderung zu Woche 12			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	34/36 (94)	18/20 (90)	Hedges` g
MW (SD)	0,79 (3,063)	0,00 (2,849)	0,26 [-0,314; 0,833]
LS MW (SE)	0,79 (0,527)	-0,00 (0,736)	LS MD
95 %-KI	-0,272; 1,850	-1,484; 1,481	0,79 [-1,075; 2,656] 0,3980
2			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
n/N (%)	45/49 (92)	17/18 (94)	Hedges` g
MW (SD)	0,66 (2,695)	1,00 (2,236)	-0,13 [-0,689; 0,428]
LS MW (SE)	0,70 (0,399)	0,88 (0,664)	LS MD
95 %-KI	-0,095; 1,504	-0,449; 2,214	-0,18 [-1,762; 1,406] 0,8227
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	15/16 (94)	10/11 (91)	Hedges` g
MW (SD)	-0,69 (3,230)	0,00 (2,981)	-0,21 [-1,015; 0,591]
LS MW (SE)	-0,82 (0,813)	0,20 (1,019)	LS MD
95 %-KI	-2,537; 0,896	-1,948; 2,351	-1,02 [-3,916; 1,872] 0,4665
2			
n/N (%)	43/43 (100)	11/12 (92)	Hedges` g
MW (SD)	0,82 (2,342)	0,09 (2,300)	0,31 [-0,356; 0,974]
LS MW (SE)	0,84 (0,360)	0,02 (0,719)	LS MD
95 %-KI	0,118; 1,568	-1,432; 1,462	0,83 [-0,800; 2,454] 0,3114
3			
n/N (%)	21/26 (81)	14/15 (93)	Hedges` g
MW (SD)	1,50 (3,242)	1,14 (2,538)	0,12 [-0,561; 0,792]
LS MW (SE)	1,41 (0,664)	1,27 (0,829)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	0,044; 2,771	-0,426; 2,974	0,13 [-2,138; 2,406] 0,9048
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	37/42 (88)	17/19 (89)	Hedges` g
MW (SD)	0,09 (2,993)	0,35 (1,998)	-0,09 [-0,668; 0,481]
LS MW (SE)	-0,02 (0,445)	0,60 (0,675)	LS MD
95 %-KI	-0,914; 0,877	-0,760; 1,958	-0,62 [-2,296; 1,061] 0,4629
2			
n/N (%)	42/43 (98)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	1,26 (2,614)	0,61 (3,090)	0,23 [-0,321; 0,786]
LS MW (SE)	1,31 (0,434)	0,49 (0,670)	LS MD
95 %-KI	0,444; 2,186	-0,856; 1,832	0,83 [-0,791; 2,445] 0,3097
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	38/42 (90)	15/17 (88)	Hedges` g
MW (SD)	0,55 (2,956)	1,53 (2,232)	-0,35 [-0,952; 0,252]
LS MW (SE)	0,64 (0,451)	1,30 (0,727)	LS MD
95 %-KI	-0,271; 1,546	-0,161; 2,769	-0,67 [-2,411; 1,078] 0,4454

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
2			
n/N (%)	41/43 (95)	20/21 (95)	Hedges` g
MW (SD)	0,87 (2,757)	-0,30 (2,598)	0,43 [-0,113; 0,967]
LS MW (SE)	0,87 (0,439)	-0,30 (0,643)	LS MD
95 %-KI	-0,008; 1,753	-1,592; 0,986	1,18 [-0,428; 2,780] 0,1474
Änderung zu Woche 26			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	33/36 (92)	18/20 (90)	Hedges` g
MW (SD)	1,36 (2,867)	-0,06 (2,796)	0,49 [-0,093; 1,072]
LS MW (SE)	1,39 (0,483)	-0,11 (0,665)	LS MD
95 %-KI	0,416; 2,363	-1,453; 1,226	1,50 [-0,194; 3,199] 0,0811
2			
n/N (%)	45/49 (92)	17/18 (94)	Hedges` g
MW (SD)	1,44 (2,939)	0,82 (2,942)	0,21 [-0,352; 0,766]
LS MW (SE)	1,49 (0,436)	0,69 (0,726)	LS MD
95 %-KI	0,616; 2,364	-0,764; 2,148	0,80 [-0,935; 2,531] 0,3601
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	14/16 (88)	10/11 (91)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	0,84 (2,797)	0,50 (3,749)	0,10 [-0,711; 0,913]
LS MW (SE)	0,82 (0,729)	0,52 (0,878)	LS MD
95 %-KI	-0,726; 2,366	-1,339; 2,383	0,30 [-2,240; 2,836] 0,8065
2			
n/N (%)	42/43 (98)	11/12 (92)	Hedges` g
MW (SD)	1,37 (2,728)	0,36 (2,873)	0,36 [-0,309; 1,026]
LS MW (SE)	1,34 (0,414)	0,48 (0,818)	LS MD
95 %-KI	0,503; 2,171	-1,169; 2,125	0,86 [-0,998; 2,716] 0,3565
3			
n/N (%)	22/26 (85)	14/15 (93)	Hedges` g
MW (SD)	1,84 (3,292)	0,29 (2,301)	0,51 [-0,167; 1,197]
LS MW (SE)	1,91 (0,642)	0,18 (0,821)	LS MD
95 %-KI	0,595; 3,225	-1,504; 1,859	1,73 [-0,491; 3,956] 0,1217
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	38/42 (90)	17/19 (89)	Hedges` g
MW (SD)	1,07 (3,026)	0,12 (2,233)	0,33 [-0,242; 0,909]
LS MW (SE)	0,98 (0,467)	0,31 (0,718)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	0,044; 1,924	-1,139; 1,751	0,68 [-1,098; 2,454] 0,4464
2			
n/N (%)	40/43 (93)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	1,73 (2,755)	0,61 (3,398)	0,37 [-0,190; 0,931]
LS MW (SE)	1,86 (0,420)	0,31 (0,631)	LS MD
95 %-KI	1,017; 2,702	-0,955; 1,580	1,55 [0,011; 3,084] 0,0485
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	38/42 (90)	15/17 (88)	Hedges` g
MW (SD)	0,68 (2,941)	1,07 (2,685)	-0,13 [-0,730; 0,466]
LS MW (SE)	0,77 (0,463)	0,85 (0,745)	LS MD
95 %-KI	-0,165; 1,701	-0,654; 2,349	-0,08 [-1,864; 1,707] 0,9295
2			
n/N (%)	40/43 (93)	20/21 (95)	Hedges` g
MW (SD)	2,09 (2,700)	-0,15 (2,943)	0,80 [0,239; 1,352]
LS MW (SE)	2,07 (0,433)	-0,10 (0,625)	LS MD
95 %-KI	1,199; 2,937	-1,356; 1,154	2,17 [0,601; 3,737] 0,0076
Änderung zu Woche 38			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Algluco- sidade alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	34/36 (94)	18/20 (90)	Hedges` g
MW (SD)	1,82 (3,351)	0,39 (2,146)	0,47 [-0,109; 1,049]
LS MW (SE)	1,79 (0,512)	0,45 (0,715)	LS MD
95 %-KI	0,757; 2,819	-0,995; 1,885	1,34 [-0,470; 3,156] 0,1427
2			
n/N (%)	46/49 (94)	17/18 (94)	Hedges` g
MW (SD)	1,32 (3,400)	0,76 (3,251)	0,16 [-0,393; 0,721]
LS MW (SE)	1,51 (0,489)	0,26 (0,824)	LS MD
95 %-KI	0,528; 2,486	-1,388; 1,914	1,24 [-0,715; 3,203] 0,2086
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	15/16 (94)	10/11 (91)	Hedges` g
MW (SD)	0,45 (4,630)	1,40 (2,875)	-0,23 [-1,032; 0,575]
LS MW (SE)	0,67 (1,123)	1,07 (1,406)	LS MD
95 %-KI	-1,701; 3,036	-1,898; 4,034	-0,40 [-4,394; 3,592] 0,8349
2			
n/N (%)	43/43 (100)	11/12 (92)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	1,54 (2,800)	-0,09 (2,700)	0,58 [-0,092; 1,251]
LS MW (SE)	1,55 (0,379)	-0,10 (0,756)	LS MD
95 %-KI	0,783; 2,308	-1,618; 1,425	1,64 [-0,068; 3,353] 0,0594
3			
n/N (%)	22/26 (85)	14/15 (93)	Hedges` g
MW (SD)	2,25 (3,362)	0,50 (2,624)	0,55 [-0,132; 1,235]
LS MW (SE)	2,38 (0,688)	0,29 (0,880)	LS MD
95 %-KI	0,973; 3,791	-1,509; 2,095	2,09 [-0,294; 4,472] 0,0833
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	38/42 (90)	17/19 (89)	Hedges` g
MW (SD)	0,94 (3,318)	0,06 (2,633)	0,28 [-0,298; 0,851]
LS MW (SE)	1,04 (0,522)	-0,17 (0,802)	LS MD
95 %-KI	-0,010; 2,089	-1,785; 1,442	1,21 [-0,772; 3,194] 0,2254
2			
n/N (%)	42/43 (98)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	2,07 (3,360)	1,06 (2,754)	0,31 [-0,241; 0,869]
LS MW (SE)	2,25 (0,421)	0,63 (0,650)	LS MD



PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	1,409; 3,099	-0,675; 1,933	1,63 [0,056; 3,195] 0,0426
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	39/42 (93)	15/17 (88)	Hedges` g
MW (SD)	1,28 (2,878)	0,40 (2,613)	0,31 [-0,290; 0,907]
LS MW (SE)	1,38 (0,447)	0,15 (0,729)	LS MD
95 %-KI	0,477; 2,276	-1,320; 1,616	1,23 [-0,512; 2,969] 0,1621
2			
n/N (%)	41/43 (95)	20/21 (95)	Hedges` g
MW (SD)	1,77 (3,795)	0,70 (2,830)	0,30 [-0,236; 0,839]
LS MW (SE)	1,91 (0,539)	0,42 (0,789)	LS MD
95 %-KI	0,828; 2,990	-1,161; 2,004	1,49 [-0,481; 3,457] 0,1355
Änderung zu Woche 52			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	34/36 (94)	18/20 (90)	Hedges` g
MW (SD)	1,94 (4,500)	0,78 (2,439)	0,29 [-0,284; 0,865]
LS MW (SE)	1,95 (0,674)	0,75 (0,941)	LS MD

Medizinischer Nutzen, medizinischer Zusatznutzen, Patientengruppen mit therap. bedeutsamem Zusatznutzen

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
<b>N</b>	<b>85</b>	<b>38</b>	-
95 %-KI	0,590; 3,305	-1,142; 2,651	1,19 [-1,193; 3,580] 0,3193
<b>2</b>			
n/N (%)	46/49 (94)	17/18 (94)	Hedges` g
MW (SD)	1,28 (3,176)	0,88 (2,759)	0,13 [-0,429; 0,684]
LS MW (SE)	1,35 (0,468)	0,70 (0,789)	LS MD
95 %-KI	0,410; 2,284	-0,884; 2,276	0,65 [-1,224; 2,525] 0,4897
<b>03</b>			
<b>1</b>			
n/N (%)	15/16 (94)	10/11 (91)	Hedges` g
MW (SD)	-0,49 (3,835)	1,20 (3,259)	-0,45 [-1,262; 0,361]
LS MW (SE)	-0,66 (0,924)	1,45 (1,157)	LS MD
95 %-KI	-2,604; 1,293	-0,987; 3,894	-2,11 [-5,395; 1,177] 0,1934
<b>2</b>			
n/N (%)	43/43 (100)	11/12 (92)	Hedges` g
MW (SD)	2,17 (3,826)	1,09 (2,587)	0,29 [-0,370; 0,959]
LS MW (SE)	2,15 (0,549)	1,16 (1,096)	LS MD
95 %-KI	1,049; 3,259	-1,043; 3,368	0,99 [-1,488; 3,471] 0,4250
<b>3</b>			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Algluco- sidade alfa/Placebo	
N	85	38	-
n/N (%)	22/26 (85)	14/15 (93)	Hedges` g
MW (SD)	1,75 (3,312)	0,36 (2,061)	0,47 [-0,210; 1,150]
LS MW (SE)	1,99 (0,659)	-0,02 (0,842)	LS MD
95 %-KI	0,639; 3,338	-1,743; 1,708	2,01 [-0,275; 4,288] 0,0824
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	38/42 (90)	17/19 (89)	Hedges` g
MW (SD)	0,81 (3,953)	0,00 (2,264)	0,22 [-0,349; 0,798]
LS MW (SE)	0,81 (0,575)	-0,02 (0,885)	LS MD
95 %-KI	-0,345; 1,970	-1,795; 1,764	0,83 [-1,360; 3,016] 0,4504
2			
n/N (%)	42/43 (98)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	2,24 (3,532)	1,61 (2,638)	0,19 [-0,365; 0,741]
LS MW (SE)	2,39 (0,484)	1,25 (0,746)	LS MD
95 %-KI	1,421; 3,362	-0,244; 2,750	1,14 [-0,664; 2,941] 0,2105
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	39/42 (93)	15/17 (88)	Hedges` g
MW (SD)	1,07 (3,743)	0,80 (1,699)	0,08 [-0,514; 0,677]

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
LS MW (SE)	1,19 (0,528)	0,51 (0,863)	LS MD
95 %-KI	0,123; 2,250	-1,228; 2,245	0,68 [-1,381; 2,736] 0,5110
2			
n/N (%)	41/43 (95)	20/21 (95)	Hedges` g
MW (SD)	2,02 (3,810)	0,85 (3,100)	0,32 [-0,217; 0,858]
LS MW (SE)	2,13 (0,572)	0,63 (0,837)	LS MD
95 %-KI	0,979; 3,274	-1,054; 2,305	1,50 [-0,589; 3,591] 0,1555
<p><sup>a</sup>Die Veränderung der Punktwerte gegenüber Baseline plus 95 %-KI und p-Wert zu jedem spezifizierten Zeitpunkt wurden mit einer ANCOVA, stratifiziert nach Geschlecht, Alter, Gewicht und Größe zu Baseline und ERT-Status mit dem Baseline-Wert der jeweiligen Skala als Kovariate auf Basis der Mittelwerte der kleinsten Quadrate analysiert.durch die gepoolte Standardabweichung.</p> <p>ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; LS MD: Mittelwertdifferenz der kleinsten Quadrate; LS MW (SE): Mittelwert der kleinsten Quadrate (Standardfehler); MW (SD): Mittelwert (Standardabweichung); N: Patienten mit Baselinewert; n: Anzahl der Patienten mit Baselinewert in der Analyse</p>			

**35.7.1.03.02.1. Veränderung der MMT-Wert über alle Muskeln in der Muskelgruppe der oberen Extremitäten****35.7.1.03.02.1. Veränderung der MMT-Wert über alle Muskeln in der Muskelgruppe der oberen Extremitäten: Interaktionstest**

<b>Veränderung der MMT-Wert über alle Muskeln in der Muskelgruppe der oberen Extremitäten: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,8454
02	0,0781
03	0,0393
04	0,5686
05	0,8851
06	0,2007
07	0,8884
08	0,0470
09	0,1304
10	0,5570

<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.

In dem Interaktionstest bei Subgruppe 09 ERT-Dauer wird die Variable ERT-Status aus dem Model entfernt, da es keine Dauer der ERT Behandlung für ERT naive Patienten gibt

**35.7.1.03.02.1. Veränderung der MMT-Wert über alle Muskeln in der Muskelgruppe der oberen Extremitäten: Subgruppenanalyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>Veränderung der MMT-Wert über alle Muskeln in der Muskelgruppe der oberen Extremitäten</b>			
Baseline-Werte			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	34/36 (94)	20/20 (100)	-
MW (SD)	34,82 (3,766)	34,35 (5,833)	
2			
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	-
MW (SD)	33,92 (3,439)	35,22 (3,490)	
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	-
MW (SD)	35,62 (3,403)	33,82 (7,012)	
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	-
MW (SD)	33,65 (3,514)	35,75 (2,832)	
3			
n/N (%)	24/26 (92)	15/15 (100)	-
MW (SD)	34,54 (3,683)	34,67 (4,304)	
<b>07</b>			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
1			
n/N (%)	40/42 (95)	19/19 (100)	-
MW (SD)	33,05 (3,194)	33,26 (5,762)	
2			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	-
MW (SD)	35,44 (3,571)	36,26 (3,142)	
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	40/42 (95)	17/17 (100)	-
MW (SD)	34,10 (3,185)	34,00 (3,841)	
2			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	-
MW (SD)	34,46 (3,945)	35,38 (5,509)	
Änderung zu Woche 12			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	34/36 (94)	20/20 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,91 (2,474)	0,95 (2,819)	-0,01 [-0,566; 0,539]
LS MW (SE)	1,10 (0,424)	0,64 (0,561)	LS MD
95 %-KI	0,242; 1,948	-0,486; 1,773	0,45 [-1,002; 1,906] 0,5347
2			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,10 (1,982)	-0,06 (2,209)	0,08 [-0,464; 0,617]
LS MW (SE)	0,03 (0,295)	0,15 (0,505)	LS MD
95 %-KI	-0,563; 0,619	-0,864; 1,156	-0,12 [-1,323; 1,086] 0,8452
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,00 (2,251)	1,36 (3,501)	-0,47 [-1,249; 0,310]
LS MW (SE)	0,38 (0,618)	0,81 (0,765)	LS MD
95 %-KI	-0,914; 1,673	-0,790; 2,412	-0,43 [-2,623; 1,760] 0,6851
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,35 (1,670)	0,67 (2,060)	-0,18 [-0,818; 0,464]
LS MW (SE)	0,38 (0,269)	0,56 (0,520)	LS MD
95 %-KI	-0,159; 0,922	-0,490; 1,603	-0,17 [-1,369; 1,019] 0,7698
3			
n/N (%)	24/26 (92)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,88 (2,968)	-0,33 (1,988)	0,45 [-0,205; 1,102]
LS MW (SE)	0,80 (0,512)	-0,21 (0,657)	LS MD



PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-0,246; 1,842	-1,551; 1,130	1,01 [-0,741; 2,759] 0,2486
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	40/42 (95)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,23 (2,057)	0,63 (2,314)	-0,19 [-0,735; 0,360]
LS MW (SE)	0,31 (0,328)	0,45 (0,486)	LS MD
95 %-KI	-0,346; 0,970	-0,527; 1,425	-0,14 [-1,345; 1,071] 0,8209
2			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,63 (2,367)	0,32 (2,849)	0,12 [-0,417; 0,664]
LS MW (SE)	0,56 (0,366)	0,49 (0,558)	LS MD
95 %-KI	-0,179; 1,290	-0,632; 1,603	0,07 [-1,284; 1,424] 0,9183
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	40/42 (95)	17/17 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,12 (1,990)	0,82 (2,404)	-0,33 [-0,896; 0,246]
LS MW (SE)	0,21 (0,325)	0,63 (0,503)	LS MD
95 %-KI	-0,447; 0,857	-0,377; 1,647	-0,43 [-1,647; 0,788] 0,4817

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
2			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,72 (2,400)	0,19 (2,713)	0,21 [-0,313; 0,733]
LS MW (SE)	0,62 (0,362)	0,40 (0,529)	LS MD
95 %-KI	-0,105; 1,346	-0,659; 1,461	0,22 [-1,098; 1,538] 0,7394
Änderung zu Woche 26			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	34/36 (94)	20/20 (100)	Hedges` g
MW (SD)	1,50 (2,921)	0,00 (3,798)	0,45 [-0,106; 1,013]
LS MW (SE)	1,63 (0,498)	-0,22 (0,659)	LS MD
95 %-KI	0,633; 2,634	-1,547; 1,103	1,86 [0,149; 3,562] 0,0337
2			
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,57 (2,630)	0,50 (2,007)	0,03 [-0,512; 0,569]
LS MW (SE)	0,65 (0,348)	0,29 (0,595)	LS MD
95 %-KI	-0,048; 1,344	-0,898; 1,483	0,36 [-1,064; 1,775] 0,6183
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Algluco- sidade alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	0,88 (2,553)	0,82 (5,076)	0,01 [-0,753; 0,782]
LS MW (SE)	1,22 (0,929)	0,32 (1,150)	LS MD
95 %-KI	-0,725; 3,164	-2,089; 2,723	0,90 [-2,392; 4,196] 0,5731
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges` g
MW (SD)	1,00 (2,713)	0,50 (1,508)	0,20 [-0,444; 0,838]
LS MW (SE)	1,00 (0,375)	0,53 (0,726)	LS MD
95 %-KI	0,242; 1,749	-0,934; 1,985	0,47 [-1,195; 2,135] 0,5728
3			
n/N (%)	24/26 (92)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,92 (3,120)	-0,40 (1,920)	0,47 [-0,182; 1,127]
LS MW (SE)	1,07 (0,459)	-0,64 (0,589)	LS MD
95 %-KI	0,133; 2,006	-1,846; 0,557	1,71 [0,145; 3,283] 0,0333
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	40/42 (95)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,90 (2,362)	0,26 (2,766)	0,25 [-0,296; 0,800]
LS MW (SE)	1,05 (0,344)	-0,05 (0,510)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	0,358; 1,738	-1,072; 0,975	1,10 [-0,170; 2,363] 0,0883
2			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	1,00 (3,137)	0,21 (3,392)	0,24 [-0,299; 0,785]
LS MW (SE)	0,92 (0,455)	0,39 (0,692)	LS MD
95 %-KI	0,010; 1,833	-0,993; 1,781	0,53 [-1,153; 2,207] 0,5318
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	40/42 (95)	17/17 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,47 (2,679)	0,29 (2,823)	0,07 [-0,502; 0,633]
LS MW (SE)	0,55 (0,382)	0,11 (0,593)	LS MD
95 %-KI	-0,216; 1,320	-1,079; 1,304	0,44 [-0,994; 1,873] 0,5408
2			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	Hedges` g
MW (SD)	1,40 (2,818)	0,19 (3,296)	0,40 [-0,127; 0,927]
LS MW (SE)	1,34 (0,427)	0,30 (0,624)	LS MD
95 %-KI	0,487; 2,197	-0,944; 1,554	1,04 [-0,516; 2,590] 0,1864
Änderung zu Woche 38			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	34/36 (94)	20/20 (100)	Hedges` g
MW (SD)	1,89 (3,414)	0,90 (3,401)	0,28 [-0,270; 0,840]
LS MW (SE)	2,00 (0,523)	0,70 (0,692)	LS MD
95 %-KI	0,949; 3,052	-0,689; 2,096	1,30 [-0,496; 3,090] 0,1522
2			
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,35 (3,031)	0,22 (2,625)	0,04 [-0,498; 0,582]
LS MW (SE)	0,25 (0,410)	0,48 (0,702)	LS MD
95 %-KI	-0,567; 1,074	-0,927; 1,879	-0,22 [-1,896; 1,451] 0,7916
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,06 (2,768)	1,45 (3,328)	-0,45 [-1,228; 0,329]
LS MW (SE)	0,64 (0,705)	0,61 (0,873)	LS MD
95 %-KI	-0,835; 2,116	-1,213; 2,440	0,03 [-2,473; 2,527] 0,9822
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	1,70 (3,388)	0,33 (2,902)	0,41 [-0,236; 1,054]
LS MW (SE)	1,65 (0,482)	0,52 (0,934)	LS MD
95 %-KI	0,679; 2,619	-1,363; 2,395	1,13 [-1,011; 3,277] 0,2931
3			
n/N (%)	24/26 (92)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,29 (3,155)	0,13 (2,997)	0,05 [-0,595; 0,695]
LS MW (SE)	0,27 (0,588)	0,17 (0,755)	LS MD
95 %-KI	-0,932; 1,465	-1,365; 1,713	0,09 [-1,917; 2,102] 0,9259
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	40/42 (95)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,68 (2,832)	0,47 (2,776)	0,07 [-0,476; 0,617]
LS MW (SE)	0,74 (0,449)	0,33 (0,665)	LS MD
95 %-KI	-0,159; 1,642	-1,001; 1,670	0,41 [-1,246; 2,060] 0,6232
2			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	1,26 (3,630)	0,68 (3,351)	0,16 [-0,381; 0,700]
LS MW (SE)	1,11 (0,409)	1,03 (0,622)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	0,286; 1,926	-0,219; 2,275	0,08 [-1,433; 1,589] 0,9177
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	40/42 (95)	17/17 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,80 (2,997)	0,82 (2,856)	-0,01 [-0,575; 0,560]
LS MW (SE)	0,85 (0,417)	0,71 (0,646)	LS MD
95 %-KI	0,010; 1,685	-0,588; 2,010	0,14 [-1,427; 1,700] 0,8617
2			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	Hedges` g
MW (SD)	1,14 (3,520)	0,38 (3,232)	0,22 [-0,304; 0,742]
LS MW (SE)	1,04 (0,481)	0,59 (0,702)	LS MD
95 %-KI	0,075; 2,002	-0,814; 2,000	0,45 [-1,303; 2,195] 0,6116
Änderung zu Woche 52			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	34/36 (94)	20/20 (100)	Hedges` g
MW (SD)	1,97 (3,992)	1,00 (4,292)	0,23 [-0,320; 0,788]
LS MW (SE)	2,25 (0,532)	0,53 (0,704)	LS MD

Medizinischer Nutzen, medizinischer Zusatznutzen, Patientengruppen mit therap. bedeutsamem Zusatznutzen

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	1,181; 3,321	-0,888; 1,945	1,72 [-0,102; 3,546] 0,0636
2			
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	Hedges` g
MW (SD)	1,18 (2,920)	0,33 (2,449)	0,30 [-0,243; 0,842]
LS MW (SE)	1,10 (0,393)	0,55 (0,672)	LS MD
95 %-KI	0,317; 1,890	-0,793; 1,896	0,55 [-1,052; 2,155] 0,4939
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,69 (2,272)	1,82 (5,135)	-0,30 [-1,069; 0,476]
LS MW (SE)	1,10 (0,728)	1,22 (0,901)	LS MD
95 %-KI	-0,425; 2,624	-0,667; 3,106	-0,12 [-2,703; 2,463] 0,9236
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges` g
MW (SD)	2,03 (3,873)	0,33 (2,535)	0,46 [-0,187; 1,105]
LS MW (SE)	1,86 (0,513)	0,91 (0,993)	LS MD
95 %-KI	0,833; 2,897	-1,088; 2,909	0,95 [-1,325; 3,234] 0,4040
3			



PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Alglucosidade alfa/Placebo	
N	85	38	-
n/N (%)	24/26 (92)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	1,12 (3,055)	0,13 (2,696)	0,33 [-0,318; 0,982]
LS MW (SE)	1,31 (0,539)	-0,17 (0,692)	LS MD
95 %-KI	0,215; 2,415	-1,582; 1,242	1,48 [-0,359; 3,329] 0,1107
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	40/42 (95)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	1,55 (2,828)	0,47 (3,702)	0,34 [-0,210; 0,889]
LS MW (SE)	1,64 (0,464)	0,27 (0,688)	LS MD
95 %-KI	0,713; 2,576	-1,107; 1,655	1,37 [-0,339; 3,080] 0,1137
2			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	1,47 (3,891)	0,89 (3,398)	0,15 [-0,390; 0,691]
LS MW (SE)	1,35 (0,424)	1,16 (0,644)	LS MD
95 %-KI	0,501; 2,199	-0,131; 2,453	0,19 [-1,377; 1,753] 0,8103
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	40/42 (95)	17/17 (100)	Hedges` g
MW (SD)	1,35 (2,896)	0,76 (2,751)	0,20 [-0,367; 0,771]

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
LS MW (SE)	1,44 (0,424)	0,55 (0,658)	LS MD
95 %-KI	0,587; 2,292	-0,768; 1,877	0,88 [-0,707; 2,477] 0,2694
2			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	Hedges` g
MW (SD)	1,65 (3,839)	0,62 (4,092)	0,26 [-0,263; 0,784]
LS MW (SE)	1,56 (0,483)	0,82 (0,705)	LS MD
95 %-KI	0,589; 2,524	-0,595; 2,231	0,74 [-1,018; 2,495] 0,4034
<p><sup>a</sup>Die Veränderung der Punktwerte gegenüber Baseline plus 95 %-KI und p-Wert zu jedem spezifizierten Zeitpunkt wurden mit einer ANCOVA, stratifiziert nach Geschlecht, Alter, Gewicht und Größe zu Baseline und ERT-Status mit dem Baseline-Wert der jeweiligen Skala als Kovariate auf Basis der Mittelwerte der kleinsten Quadrate analysiert.durch die gepoolte Standardabweichung.</p> <p>ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; LS MD: Mittelwertdifferenz der kleinsten Quadrate; LS MW (SE): Mittelwert der kleinsten Quadrate (Standardfehler); MW (SD): Mittelwert (Standardabweichung); N: Patienten mit Baselinewert; n: Anzahl der Patienten mit Baselinewert in der Analyse</p>			

**35.7.1.03.03.1. Veränderung der MMT-Wert über alle Muskeln in der proximalen Muskelgruppe****35.7.1.03.03.1. Veränderung der MMT-Wert über alle Muskeln in der proximalen Muskelgruppe: Interaktionstest**

<b>Veränderung der MMT-Wert über alle Muskeln in der proximalen Muskelgruppe: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,2139
02	0,0078
03	0,1003
04	0,1896
05	0,2100
06	0,0152
07	0,4901
08	0,0087
09	0,1450
10	0,6217

<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.

In dem Interaktionstest bei Subgruppe 09 ERT-Dauer wird die Variable ERT-Status aus dem Model entfernt, da es keine Dauer der ERT Behandlung für ERT naive Patienten gibt

**35.7.1.03.03.1. Veränderung der MMT-Wert über alle Muskeln in der proximalen Muskelgruppe: Subgruppenanalyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>Veränderung der MMT-Wert über alle Muskeln in der proximalen Muskelgruppe</b>			
Baseline-Werte			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	34/36 (94)	19/20 (95)	-
MW (SD)	28,63 (5,505)	28,53 (6,406)	
2			
n/N (%)	47/49 (96)	18/18 (100)	-
MW (SD)	27,39 (4,572)	26,72 (5,166)	
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	-
MW (SD)	28,53 (4,766)	28,09 (6,123)	
2			
n/N (%)	43/43 (100)	11/12 (92)	-
MW (SD)	27,65 (4,919)	29,45 (5,241)	
3			
n/N (%)	22/26 (85)	15/15 (100)	-
MW (SD)	27,96 (5,459)	26,00 (5,940)	
<b>07</b>			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
<b>N</b>	<b>85</b>	<b>38</b>	-
1			
n/N (%)	38/42 (90)	18/19 (95)	-
MW (SD)	25,47 (3,922)	25,83 (6,290)	
2			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	-
MW (SD)	30,07 (4,869)	29,37 (4,913)	
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	39/42 (93)	17/17 (100)	-
MW (SD)	26,85 (4,889)	25,47 (5,456)	
2			
n/N (%)	42/43 (98)	20/21 (95)	-
MW (SD)	28,89 (4,938)	29,50 (5,605)	
Änderung zu Woche 12			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	34/36 (94)	19/20 (95)	Hedges` g
MW (SD)	1,01 (2,799)	-0,16 (3,042)	0,40 [-0,167; 0,967]
LS MW (SE)	1,11 (0,516)	-0,32 (0,704)	LS MD
95 %-KI	0,067; 2,146	-1,739; 1,095	1,43 [-0,381; 3,239] 0,1189
2			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Alglucosidade alfa/Placebo	
N	85	38	-
n/N (%)	46/49 (94)	18/18 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,32 (2,835)	0,28 (2,562)	0,01 [-0,532; 0,558]
LS MW (SE)	0,35 (0,408)	0,20 (0,666)	LS MD
95 %-KI	-0,470; 1,164	-1,138; 1,530	0,15 [-1,443; 1,745] 0,8502
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,34 (3,986)	0,00 (3,225)	-0,09 [-0,858; 0,678]
LS MW (SE)	-0,44 (0,913)	0,15 (1,128)	LS MD
95 %-KI	-2,356; 1,466	-2,214; 2,508	-0,59 [-3,816; 2,632] 0,7050
2			
n/N (%)	43/43 (100)	11/12 (92)	Hedges` g
MW (SD)	0,56 (2,122)	0,09 (3,113)	0,20 [-0,466; 0,861]
LS MW (SE)	0,60 (0,360)	-0,05 (0,720)	LS MD
95 %-KI	-0,128; 1,321	-1,497; 1,400	0,64 [-0,985; 2,273] 0,4303
3			
n/N (%)	21/26 (81)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	1,45 (2,941)	0,07 (2,374)	0,50 [-0,178; 1,170]
LS MW (SE)	1,41 (0,598)	0,13 (0,717)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	0,180; 2,630	-1,343; 1,595	1,28 [-0,708; 3,266] 0,1980
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	37/42 (88)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	0,08 (2,967)	0,00 (2,249)	0,03 [-0,535; 0,591]
LS MW (SE)	0,07 (0,455)	0,01 (0,670)	LS MD
95 %-KI	-0,843; 0,990	-1,337; 1,357	0,06 [-1,617; 1,743] 0,9398
2			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	1,07 (2,642)	0,11 (3,281)	0,34 [-0,208; 0,878]
LS MW (SE)	1,14 (0,433)	-0,04 (0,657)	LS MD
95 %-KI	0,268; 2,003	-1,355; 1,279	1,17 [-0,419; 2,766] 0,1455
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	38/42 (90)	17/17 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,35 (2,910)	0,76 (2,463)	-0,15 [-0,719; 0,427]
LS MW (SE)	0,51 (0,452)	0,42 (0,686)	LS MD
95 %-KI	-0,402; 1,414	-0,957; 1,801	0,08 [-1,595; 1,764] 0,9200

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
2			
n/N (%)	42/43 (98)	20/21 (95)	Hedges` g
MW (SD)	0,85 (2,757)	-0,55 (2,964)	0,49 [-0,051; 1,028]
LS MW (SE)	0,83 (0,448)	-0,51 (0,663)	LS MD
95 %-KI	-0,068; 1,727	-1,841; 0,817	1,34 [-0,304; 2,987] 0,1079
Änderung zu Woche 26			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	33/36 (92)	19/20 (95)	Hedges` g
MW (SD)	1,32 (2,943)	-0,05 (2,953)	0,46 [-0,114; 1,030]
LS MW (SE)	1,37 (0,524)	-0,14 (0,703)	LS MD
95 %-KI	0,314; 2,425	-1,558; 1,274	1,51 [-0,309; 3,332] 0,1014
2			
n/N (%)	47/49 (96)	18/18 (100)	Hedges` g
MW (SD)	1,27 (3,060)	1,00 (2,787)	0,09 [-0,453; 0,634]
LS MW (SE)	1,32 (0,429)	0,88 (0,709)	LS MD
95 %-KI	0,462; 2,181	-0,543; 2,298	0,44 [-1,248; 2,136] 0,6015
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges` g



PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	1,28 (3,033)	0,91 (3,936)	0,11 [-0,663; 0,874]
LS MW (SE)	1,03 (0,869)	1,28 (1,074)	LS MD
95 %-KI	-0,793; 2,846	-0,969; 3,528	-0,25 [-3,322; 2,818] 0,8653
2			
n/N (%)	42/43 (98)	11/12 (92)	Hedges` g
MW (SD)	1,03 (2,782)	0,73 (2,724)	0,11 [-0,558; 0,770]
LS MW (SE)	1,04 (0,425)	0,69 (0,841)	LS MD
95 %-KI	0,182; 1,893	-1,008; 2,380	0,35 [-1,560; 2,263] 0,7130
3			
n/N (%)	22/26 (85)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	1,81 (3,407)	-0,07 (2,120)	0,62 [-0,053; 1,293]
LS MW (SE)	1,93 (0,620)	-0,24 (0,763)	LS MD
95 %-KI	0,661; 3,197	-1,802; 1,317	2,17 [0,083; 4,259] 0,0421
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	38/42 (90)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	0,90 (3,106)	0,00 (2,376)	0,31 [-0,257; 0,871]
LS MW (SE)	0,86 (0,477)	0,10 (0,711)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-0,103; 1,816	-1,333; 1,527	0,76 [-1,014; 2,533] 0,3934
2			
n/N (%)	42/43 (98)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	1,65 (2,879)	0,89 (3,298)	0,25 [-0,298; 0,790]
LS MW (SE)	1,71 (0,442)	0,76 (0,662)	LS MD
95 %-KI	0,820; 2,592	-0,568; 2,090	0,95 [-0,668; 2,558] 0,2452
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	39/42 (93)	17/17 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,66 (3,482)	1,06 (2,861)	-0,12 [-0,688; 0,452]
LS MW (SE)	0,76 (0,537)	0,84 (0,827)	LS MD
95 %-KI	-0,322; 1,839	-0,827; 2,498	-0,08 [-2,093; 1,939] 0,9392
2			
n/N (%)	41/43 (95)	20/21 (95)	Hedges` g
MW (SD)	1,89 (2,329)	-0,05 (2,874)	0,76 [0,209; 1,314]
LS MW (SE)	1,85 (0,377)	0,03 (0,552)	LS MD
95 %-KI	1,098; 2,611	-1,078; 1,134	1,83 [0,451; 3,202] 0,0102
Änderung zu Woche 38			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	34/36 (94)	19/20 (95)	Hedges` g
MW (SD)	2,19 (3,432)	0,68 (3,713)	0,42 [-0,147; 0,988]
LS MW (SE)	2,16 (0,599)	0,74 (0,817)	LS MD
95 %-KI	0,951; 3,365	-0,901; 2,389	1,41 [-0,687; 3,515] 0,1821
2			
n/N (%)	47/49 (96)	18/18 (100)	Hedges` g
MW (SD)	1,13 (3,975)	1,00 (2,497)	0,03 [-0,509; 0,577]
LS MW (SE)	1,22 (0,515)	0,76 (0,850)	LS MD
95 %-KI	0,186; 2,247	-0,940; 2,464	0,45 [-1,574; 2,483] 0,6554
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges` g
MW (SD)	1,09 (4,872)	1,09 (3,270)	0,00 [-0,767; 0,768]
LS MW (SE)	1,20 (1,195)	0,93 (1,477)	LS MD
95 %-KI	-1,299; 3,703	-2,157; 4,025	0,27 [-3,952; 4,488] 0,8957
2			
n/N (%)	43/43 (100)	11/12 (92)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	1,65 (3,457)	1,18 (2,857)	0,14 [-0,524; 0,802]
LS MW (SE)	1,68 (0,473)	1,09 (0,945)	LS MD
95 %-KI	0,725; 2,628	-0,811; 2,993	0,59 [-1,554; 2,726] 0,5843
3			
n/N (%)	22/26 (85)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	1,76 (3,619)	0,40 (3,397)	0,38 [-0,285; 1,040]
LS MW (SE)	1,76 (0,778)	0,40 (0,957)	LS MD
95 %-KI	0,172; 3,355	-1,558; 2,357	1,36 [-1,256; 3,985] 0,2957
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	38/42 (90)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	0,40 (3,570)	0,28 (2,927)	0,04 [-0,524; 0,597]
LS MW (SE)	0,44 (0,552)	0,21 (0,822)	LS MD
95 %-KI	-0,674; 1,545	-1,444; 1,862	0,23 [-1,824; 2,277] 0,8250
2			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	2,61 (3,679)	1,37 (3,320)	0,34 [-0,201; 0,886]
LS MW (SE)	2,73 (0,433)	1,08 (0,658)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	1,864; 3,601	-0,235; 2,404	1,65 [0,052; 3,243] 0,0432
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	39/42 (93)	17/17 (100)	Hedges` g
MW (SD)	1,17 (3,821)	1,18 (3,005)	-0,00 [-0,570; 0,569]
LS MW (SE)	1,28 (0,585)	0,93 (0,900)	LS MD
95 %-KI	0,104; 2,457	-0,877; 2,743	0,35 [-1,848; 2,543] 0,7517
2			
n/N (%)	42/43 (98)	20/21 (95)	Hedges` g
MW (SD)	1,94 (3,733)	0,55 (3,300)	0,38 [-0,155; 0,919]
LS MW (SE)	1,96 (0,526)	0,51 (0,779)	LS MD
95 %-KI	0,906; 3,014	-1,047; 2,075	1,45 [-0,487; 3,378] 0,1394
Änderung zu Woche 52			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	34/36 (94)	19/20 (95)	Hedges` g
MW (SD)	2,22 (4,443)	0,89 (3,143)	0,32 [-0,241; 0,889]
LS MW (SE)	2,31 (0,678)	0,73 (0,924)	LS MD

Medizinischer Nutzen, medizinischer Zusatznutzen, Patientengruppen mit therap. bedeutsamem Zusatznutzen

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	0,949; 3,676	-1,129; 2,589	1,58 [-0,792; 3,957] 0,1864
2			
n/N (%)	47/49 (96)	18/18 (100)	Hedges` g
MW (SD)	1,38 (3,379)	0,78 (2,463)	0,19 [-0,356; 0,733]
LS MW (SE)	1,42 (0,478)	0,69 (0,790)	LS MD
95 %-KI	0,459; 2,373	-0,896; 2,267	0,73 [-1,153; 2,615] 0,4407
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,84 (3,424)	1,09 (2,468)	-0,08 [-0,846; 0,690]
LS MW (SE)	0,56 (0,751)	1,51 (0,928)	LS MD
95 %-KI	-1,014; 2,129	-0,434; 3,449	-0,95 [-3,601; 1,701] 0,4624
2			
n/N (%)	43/43 (100)	11/12 (92)	Hedges` g
MW (SD)	2,19 (4,102)	1,09 (3,360)	0,27 [-0,392; 0,937]
LS MW (SE)	2,17 (0,582)	1,16 (1,164)	LS MD
95 %-KI	0,998; 3,342	-1,182; 3,504	1,01 [-1,626; 3,644] 0,4448
3			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Alglucosidade alfa/Placebo	
N	85	38	-
n/N (%)	22/26 (85)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	1,49 (3,684)	0,47 (2,722)	0,30 [-0,360; 0,961]
LS MW (SE)	1,60 (0,768)	0,30 (0,944)	LS MD
95 %-KI	0,033; 3,172	-1,628; 2,234	1,30 [-1,285; 3,885] 0,3124
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	38/42 (90)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	0,85 (3,135)	0,28 (2,052)	0,20 [-0,363; 0,761]
LS MW (SE)	0,88 (0,483)	0,21 (0,719)	LS MD
95 %-KI	-0,088; 1,853	-1,237; 1,655	0,67 [-1,121; 2,468] 0,4540
2			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	2,51 (4,284)	1,37 (3,320)	0,28 [-0,261; 0,824]
LS MW (SE)	2,69 (0,531)	0,97 (0,807)	LS MD
95 %-KI	1,623; 3,754	-0,645; 2,590	1,72 [-0,241; 3,673] 0,0843
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	39/42 (93)	17/17 (100)	Hedges` g
MW (SD)	1,38 (3,335)	1,12 (2,547)	0,08 [-0,487; 0,653]

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
LS MW (SE)	1,45 (0,517)	0,95 (0,796)	LS MD
95 %-KI	0,412; 2,492	-0,649; 2,552	0,50 [-1,440; 2,441] 0,6065
2			
n/N (%)	42/43 (98)	20/21 (95)	Hedges` g
MW (SD)	2,06 (4,301)	0,60 (3,033)	0,37 [-0,171; 0,903]
LS MW (SE)	2,13 (0,593)	0,46 (0,878)	LS MD
95 %-KI	0,940; 3,317	-1,300; 2,221	1,67 [-0,511; 3,847] 0,1307
<p><sup>a</sup>Die Veränderung der Punktwerte gegenüber Baseline plus 95 %-KI und p-Wert zu jedem spezifizierten Zeitpunkt wurden mit einer ANCOVA, stratifiziert nach Geschlecht, Alter, Gewicht und Größe zu Baseline und ERT-Status mit dem Baseline-Wert der jeweiligen Skala als Kovariate auf Basis der Mittelwerte der kleinsten Quadrate analysiert.durch die gepoolte Standardabweichung.</p> <p>ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; LS MD: Mittelwertdifferenz der kleinsten Quadrate; LS MW (SE): Mittelwert der kleinsten Quadrate (Standardfehler); MW (SD): Mittelwert (Standardabweichung); N: Patienten mit Baselinewert; n: Anzahl der Patienten mit Baselinewert in der Analyse</p>			



**35.7.1.03.04.1. Veränderung des MMT-Gesamt-Scores****35.7.1.03.04.1. Veränderung des MMT-Gesamt-Scores: Interaktionstest**

<b>Veränderung des MMT-Gesamt-Scores: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,2808
02	0,0057
03	0,0262
04	0,8418
05	0,2749
06	0,2059
07	0,6229
08	0,0363
09	0,8268
10	0,5747

*<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.*

*In dem Interaktionstest bei Subgruppe 09 ERT-Dauer wird die Variable ERT-Status aus dem Model entfernt, da es keine Dauer der ERT Behandlung für ERT naive Patienten gibt*

**35.7.1.03.04.1. Veränderung des MMT-Gesamt-Scores: Subgruppenanalyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglicosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>Veränderung des MMT-Gesamt-Scores</b>			
Baseline-Werte			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	34/36 (94)	18/20 (90)	-
MW (SD)	64,03 (8,736)	63,94 (10,882)	
2			
n/N (%)	46/49 (94)	17/18 (94)	-
MW (SD)	61,50 (7,767)	61,35 (8,433)	
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	15/16 (94)	10/11 (91)	-
MW (SD)	64,02 (8,392)	61,70 (11,729)	
2			
n/N (%)	43/43 (100)	11/12 (92)	-
MW (SD)	61,50 (8,272)	65,36 (9,003)	
3			
n/N (%)	22/26 (85)	14/15 (93)	-
MW (SD)	63,70 (8,134)	61,29 (8,965)	
<b>07</b>			
1			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Algluco- sidade alfa/Placebo	
<b>N</b>	<b>85</b>	<b>38</b>	-
n/N (%)	38/42 (90)	17/19 (89)	-
MW (SD)	58,46 (6,561)	59,06 (10,883)	
<b>2</b>			
n/N (%)	42/43 (98)	18/19 (95)	-
MW (SD)	66,31 (7,865)	66,11 (7,194)	
<b>08</b>			
<b>1</b>			
n/N (%)	39/42 (93)	15/17 (88)	-
MW (SD)	61,72 (7,670)	59,93 (8,787)	
<b>2</b>			
n/N (%)	41/43 (95)	20/21 (95)	-
MW (SD)	63,40 (8,756)	64,75 (10,078)	
Änderung zu Woche 12			
<b>01</b>			
<b>1</b>			
n/N (%)	34/36 (94)	18/20 (90)	Hedges` g
MW (SD)	1,70 (3,966)	0,67 (4,563)	0,24 [-0,329; 0,818]
LS MW (SE)	1,81 (0,717)	0,46 (1,002)	LS MD
95 %-KI	0,366; 3,255	-1,554; 2,481	1,35 [-1,192; 3,887] 0,2910
<b>2</b>			
n/N (%)	45/49 (92)	17/18 (94)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	0,88 (3,950)	0,71 (3,331)	0,05 [-0,512; 0,604]
LS MW (SE)	0,86 (0,580)	0,77 (0,965)	LS MD
95 %-KI	-0,304; 2,019	-1,161; 2,705	0,09 [-2,215; 2,385] 0,9410
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	15/16 (94)	10/11 (91)	Hedges` g
MW (SD)	-0,62 (4,904)	0,90 (5,466)	-0,29 [-1,091; 0,518]
LS MW (SE)	-0,45 (1,291)	0,64 (1,621)	LS MD
95 %-KI	-3,173; 2,276	-2,778; 4,064	-1,09 [-5,716; 3,532] 0,6248
2			
n/N (%)	43/43 (100)	11/12 (92)	Hedges` g
MW (SD)	1,22 (2,685)	0,73 (2,901)	0,18 [-0,485; 0,841]
LS MW (SE)	1,27 (0,408)	0,55 (0,819)	LS MD
95 %-KI	0,444; 2,087	-1,094; 2,201	0,71 [-1,143; 2,568] 0,4436
3			
n/N (%)	21/26 (81)	14/15 (93)	Hedges` g
MW (SD)	2,59 (4,944)	0,50 (3,695)	0,45 [-0,231; 1,140]
LS MW (SE)	2,55 (0,948)	0,57 (1,181)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	0,600; 4,492	-1,855; 2,990	1,98 [-1,248; 5,205] 0,2191
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	37/42 (88)	17/19 (89)	Hedges` g
MW (SD)	0,45 (3,630)	0,76 (3,231)	-0,09 [-0,664; 0,485]
LS MW (SE)	0,43 (0,560)	0,81 (0,848)	LS MD
95 %-KI	-0,700; 1,553	-0,901; 2,514	-0,38 [-2,489; 1,729] 0,7186
2			
n/N (%)	42/43 (98)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	1,93 (4,134)	0,61 (4,629)	0,30 [-0,251; 0,859]
LS MW (SE)	1,93 (0,652)	0,61 (1,001)	LS MD
95 %-KI	0,625; 3,241	-1,403; 2,615	1,33 [-1,084; 3,739] 0,2745
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	38/42 (90)	15/17 (88)	Hedges` g
MW (SD)	0,71 (3,454)	1,80 (3,299)	-0,32 [-0,917; 0,285]
LS MW (SE)	0,82 (0,556)	1,51 (0,894)	LS MD
95 %-KI	-0,301; 1,940	-0,289; 3,311	-0,69 [-2,830; 1,447] 0,5182

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
2			
n/N (%)	41/43 (95)	20/21 (95)	Hedges` g
MW (SD)	1,73 (4,349)	-0,15 (4,271)	0,43 [-0,112; 0,969]
LS MW (SE)	1,63 (0,686)	0,05 (1,004)	LS MD
95 %-KI	0,255; 3,005	-1,965; 2,062	1,58 [-0,925; 4,089] 0,2112
Änderung zu Woche 26			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	33/36 (92)	18/20 (90)	Hedges` g
MW (SD)	2,85 (4,788)	-0,50 (5,533)	0,65 [0,062; 1,240]
LS MW (SE)	2,96 (0,802)	-0,70 (1,104)	LS MD
95 %-KI	1,338; 4,572	-2,926; 1,524	3,66 [0,839; 6,474] 0,0122
2			
n/N (%)	45/49 (92)	17/18 (94)	Hedges` g
MW (SD)	2,17 (4,459)	1,35 (4,227)	0,18 [-0,375; 0,743]
LS MW (SE)	2,31 (0,627)	0,99 (1,044)	LS MD
95 %-KI	1,054; 3,565	-1,100; 3,083	1,32 [-1,171; 3,808] 0,2933
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	14/16 (88)	10/11 (91)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	2,12 (3,820)	0,80 (7,941)	0,22 [-0,597; 1,032]
LS MW (SE)	2,37 (1,513)	0,46 (1,824)	LS MD
95 %-KI	-0,840; 5,573	-3,410; 4,324	1,91 [-3,386; 7,203] 0,4558
2			
n/N (%)	42/43 (98)	11/12 (92)	Hedges` g
MW (SD)	2,35 (4,548)	0,73 (3,003)	0,37 [-0,296; 1,040]
LS MW (SE)	2,29 (0,628)	0,92 (1,248)	LS MD
95 %-KI	1,028; 3,559	-1,590; 3,438	1,37 [-1,470; 4,210] 0,3365
3			
n/N (%)	22/26 (85)	14/15 (93)	Hedges` g
MW (SD)	2,89 (5,226)	-0,14 (3,634)	0,63 [-0,055; 1,320]
LS MW (SE)	3,25 (0,840)	-0,72 (1,072)	LS MD
95 %-KI	1,532; 4,973	-2,915; 1,478	3,97 [1,074; 6,867] 0,0090
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	38/42 (90)	17/19 (89)	Hedges` g
MW (SD)	2,04 (4,105)	0,29 (4,312)	0,41 [-0,164; 0,991]
LS MW (SE)	2,14 (0,667)	0,08 (1,025)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	0,797; 3,481	-1,984; 2,140	2,06 [-0,472; 4,594] 0,1083
2			
n/N (%)	40/43 (93)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	2,85 (5,015)	0,50 (5,628)	0,45 [-0,117; 1,008]
LS MW (SE)	2,90 (0,708)	0,39 (1,060)	LS MD
95 %-KI	1,483; 4,325	-1,743; 2,514	2,52 [-0,054; 5,091] 0,0548
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	38/42 (90)	15/17 (88)	Hedges` g
MW (SD)	1,21 (4,368)	1,00 (4,660)	0,05 [-0,552; 0,644]
LS MW (SE)	1,33 (0,681)	0,70 (1,092)	LS MD
95 %-KI	-0,043; 2,700	-1,504; 2,895	0,63 [-1,978; 3,244] 0,6277
2			
n/N (%)	40/43 (93)	20/21 (95)	Hedges` g
MW (SD)	3,65 (4,517)	-0,05 (5,246)	0,76 [0,210; 1,320]
LS MW (SE)	3,57 (0,689)	0,09 (0,996)	LS MD
95 %-KI	2,191; 4,956	-1,905; 2,091	3,48 [0,983; 5,980] 0,0072
Änderung zu Woche 38			



PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	34/36 (94)	18/20 (90)	Hedges` g
MW (SD)	3,70 (5,967)	0,94 (4,544)	0,49 [-0,088; 1,071]
LS MW (SE)	3,72 (0,879)	0,90 (1,228)	LS MD
95 %-KI	1,953; 5,495	-1,569; 3,378	2,82 [-0,294; 5,933] 0,0748
2			
n/N (%)	46/49 (94)	17/18 (94)	Hedges` g
MW (SD)	1,71 (5,628)	1,00 (5,196)	0,13 [-0,429; 0,684]
LS MW (SE)	1,87 (0,772)	0,58 (1,300)	LS MD
95 %-KI	0,324; 3,415	-2,029; 3,182	1,29 [-1,798; 4,384] 0,4055
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	15/16 (94)	10/11 (91)	Hedges` g
MW (SD)	0,58 (6,871)	2,40 (4,695)	-0,29 [-1,093; 0,517]
LS MW (SE)	1,34 (1,655)	1,26 (2,078)	LS MD
95 %-KI	-2,152; 4,831	-3,122; 5,644	0,08 [-5,847; 6,004] 0,9780
2			
n/N (%)	43/43 (100)	11/12 (92)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	3,22 (5,653)	0,09 (4,679)	0,56 [-0,108; 1,234]
LS MW (SE)	3,17 (0,765)	0,28 (1,534)	LS MD
95 %-KI	1,633; 4,711	-2,806; 3,369	2,89 [-0,587; 6,368] 0,1011
<b>3</b>			
n/N (%)	22/26 (85)	14/15 (93)	Hedges` g
MW (SD)	2,61 (5,331)	0,64 (5,078)	0,37 [-0,308; 1,044]
LS MW (SE)	2,87 (1,089)	0,24 (1,390)	LS MD
95 %-KI	0,638; 5,098	-2,604; 3,090	2,62 [-1,129; 6,379] 0,1632
<b>07</b>			
<b>1</b>			
n/N (%)	38/42 (90)	17/19 (89)	Hedges` g
MW (SD)	1,65 (5,125)	0,47 (4,888)	0,23 [-0,344; 0,803]
LS MW (SE)	1,86 (0,816)	-0,01 (1,253)	LS MD
95 %-KI	0,219; 3,501	-2,527; 2,516	1,87 [-1,233; 4,963] 0,2318
<b>2</b>			
n/N (%)	42/43 (98)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	3,38 (6,335)	1,44 (4,805)	0,32 [-0,233; 0,878]
LS MW (SE)	3,50 (0,667)	1,18 (1,024)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	2,158; 4,834	-0,874; 3,237	2,31 [-0,152; 4,781] 0,0653
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	39/42 (93)	15/17 (88)	Hedges` g
MW (SD)	2,02 (5,017)	0,93 (4,743)	0,22 [-0,380; 0,814]
LS MW (SE)	2,19 (0,739)	0,50 (1,202)	LS MD
95 %-KI	0,701; 3,676	-1,916; 2,924	1,68 [-1,180; 4,548] 0,2426
2			
n/N (%)	41/43 (95)	20/21 (95)	Hedges` g
MW (SD)	3,07 (6,518)	1,00 (4,963)	0,34 [-0,201; 0,875]
LS MW (SE)	3,07 (0,880)	0,99 (1,288)	LS MD
95 %-KI	1,308; 4,837	-1,593; 3,575	2,08 [-1,136; 5,298] 0,2001
Änderung zu Woche 52			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	34/36 (94)	18/20 (90)	Hedges` g
MW (SD)	3,91 (7,528)	1,50 (4,260)	0,36 [-0,216; 0,935]
LS MW (SE)	4,08 (1,036)	1,18 (1,447)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	1,994; 6,166	-1,738; 4,090	2,90 [-0,764; 6,572] 0,1178
2			
n/N (%)	46/49 (94)	17/18 (94)	Hedges` g
MW (SD)	2,45 (5,303)	1,24 (4,521)	0,24 [-0,323; 0,793]
LS MW (SE)	2,54 (0,772)	0,99 (1,301)	LS MD
95 %-KI	0,997; 4,089	-1,617; 3,594	1,55 [-1,537; 4,646] 0,3181
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	15/16 (94)	10/11 (91)	Hedges` g
MW (SD)	0,31 (4,873)	2,60 (4,452)	-0,47 [-1,282; 0,343]
LS MW (SE)	0,31 (1,159)	2,61 (1,455)	LS MD
95 %-KI	-2,139; 2,752	-0,460; 5,680	-2,30 [-6,453; 1,847] 0,2578
2			
n/N (%)	43/43 (100)	11/12 (92)	Hedges` g
MW (SD)	4,20 (6,952)	1,36 (4,130)	0,43 [-0,238; 1,097]
LS MW (SE)	4,11 (0,964)	1,72 (1,933)	LS MD
95 %-KI	2,166; 6,047	-2,172; 5,612	2,39 [-1,996; 6,769] 0,2788
3			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Algluco- sidade alfa/Placebo	
N	85	38	-
n/N (%)	22/26 (85)	14/15 (93)	Hedges` g
MW (SD)	2,75 (5,537)	0,50 (4,485)	0,43 [-0,252; 1,105]
LS MW (SE)	3,32 (1,082)	-0,39 (1,382)	LS MD
95 %-KI	1,100; 5,534	-3,222; 2,440	3,71 [-0,025; 7,441] 0,0514
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	38/42 (90)	17/19 (89)	Hedges` g
MW (SD)	2,31 (5,631)	0,47 (3,842)	0,35 [-0,225; 0,927]
LS MW (SE)	2,47 (0,867)	0,09 (1,332)	LS MD
95 %-KI	0,730; 4,218	-2,587; 2,772	2,38 [-0,910; 5,673] 0,1522
2			
n/N (%)	42/43 (98)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	3,76 (6,916)	2,22 (4,685)	0,24 [-0,314; 0,794]
LS MW (SE)	3,94 (0,762)	1,81 (1,170)	LS MD
95 %-KI	2,413; 5,470	-0,540; 4,157	2,13 [-0,686; 4,951] 0,1350
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	39/42 (93)	15/17 (88)	Hedges` g
MW (SD)	2,48 (5,512)	1,27 (3,535)	0,24 [-0,360; 0,835]

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
LS MW (SE)	2,65 (0,815)	0,84 (1,327)	LS MD
95 %-KI	1,007; 4,289	-1,827; 3,513	1,80 [-1,355; 4,964] 0,2562
2			
n/N (%)	41/43 (95)	20/21 (95)	Hedges` g
MW (SD)	3,63 (7,064)	1,45 (4,925)	0,33 [-0,205; 0,871]
LS MW (SE)	3,70 (0,956)	1,30 (1,400)	LS MD
95 %-KI	1,784; 5,619	-1,506; 4,109	2,40 [-1,096; 5,895] 0,1743
<p><sup>a</sup>Die Veränderung der Punktwerte gegenüber Baseline plus 95 %-KI und p-Wert zu jedem spezifizierten Zeitpunkt wurden mit einer ANCOVA, stratifiziert nach Geschlecht, Alter, Gewicht und Größe zu Baseline und ERT-Status mit dem Baseline-Wert der jeweiligen Skala als Kovariate auf Basis der Mittelwerte der kleinsten Quadrate analysiert.durch die gepoolte Standardabweichung.</p> <p>ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; LS MD: Mittelwertdifferenz der kleinsten Quadrate; LS MW (SE): Mittelwert der kleinsten Quadrate (Standardfehler); MW (SD): Mittelwert (Standardabweichung); N: Patienten mit Baselinewert; n: Anzahl der Patienten mit Baselinewert in der Analyse</p>			

**35.7.1.03.05.2. Verbesserung um 6 Punkte im MMT gegenüber Baseline in der Muskelgruppe der unteren Extremitäten MID = 15 %****35.7.1.03.05.2. Verbesserung um 6 Punkte im MMT gegenüber Baseline in der Muskelgruppe der unteren Extremitäten MID = 15 %: Interaktionstest**

<b>Verbesserung um 6 Punkte im MMT gegenüber Baseline in der Muskelgruppe der unteren Extremitäten MID = 15 %: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,4399
02	0,7249
03	0,2523
04	0,9162
05	0,3317
06	0,4145
07	0,6428
08	0,7654
09	0,5037
10	0,3771

<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.

**35.7.1.03.06.2. Verschlechterung um 6 Punkte im MMT gegenüber Baseline in der Muskelgruppe der unteren Extremitäten MID = 15 %****35.7.1.03.06.2. Verschlechterung um 6 Punkte im MMT gegenüber Baseline in der Muskelgruppe der unteren Extremitäten MID = 15 %: Interaktionstest**

<b>Verschlechterung um 6 Punkte im MMT gegenüber Baseline in der Muskelgruppe der unteren Extremitäten MID = 15 %: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	1,0000
02	1,0000
03	1,0000
04	1,0000
05	0,9999
06	1,0000
07	1,0000
08	0,9999
09	1,0000
10	1,0000

<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.



**35.7.1.03.07.2. Verbesserung um 6 Punkte im MMT gegenüber Baseline in der Muskelgruppe der oberen Extremitäten MID = 15 %****35.7.1.03.07.2. Verbesserung um 6 Punkte im MMT gegenüber Baseline in der Muskelgruppe der oberen Extremitäten MID = 15 %: Interaktionstest**

<b>Verbesserung um 6 Punkte im MMT gegenüber Baseline in der Muskelgruppe der oberen Extremitäten MID = 15 %: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,5004
02	0,6440
03	0,0360
04	0,6146
05	0,5224
06	0,5890
07	0,8891
08	0,2327
09	0,4021
10	0,8354

<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.

**35.7.1.03.08.2. Verschlechterung um 6 Punkte im MMT gegenüber Baseline in der Muskelgruppe der oberen Extremitäten MID = 15 %****35.7.1.03.08.2. Verschlechterung um 6 Punkte im MMT gegenüber Baseline in der Muskelgruppe der oberen Extremitäten MID = 15 %: Interaktionstest**

<b>Verschlechterung um 6 Punkte im MMT gegenüber Baseline in der Muskelgruppe der oberen Extremitäten MID = 15 %: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,8363
02	1,0000
03	0,3697
04	0,1421
05	0,2078
06	0,0719
07	0,1859
08	1,0000
09	0,2098
10	0,8574

<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.

**35.7.1.03.09.2. Verbesserung um 6 Punkte im MMT gegenüber Baseline in der proximalen Muskelgruppe MID = 15 %****35.7.1.03.09.2. Verbesserung um 6 Punkte im MMT gegenüber Baseline in der proximalen Muskelgruppe MID = 15 %: Interaktionstest**

<b>Verbesserung um 6 Punkte im MMT gegenüber Baseline in der proximalen Muskelgruppe MID = 15 %: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,6857
02	0,7215
03	0,8827
04	0,6664
05	0,8127
06	0,9075
07	0,7055
08	0,5686
09	0,7324
10	0,7527

<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.

**35.7.1.03.09.2. Verbesserung um 6 Punkte im MMT gegenüber Baseline in der proximalen Muskelgruppe MID = 15 %: Subgruppenanalyse**

Verbesserung um 6 Punkte im MMT gegenüber Baseline in der proximalen Muskelgruppe MID = 15 %			
		Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo
<b>01</b>			
<b>02</b>			
<b>03</b>			
<b>04</b>			
<b>05</b>			
<b>06</b>			
<b>07</b>			
1	N	42	19
	Ereignisse, n (%)	4 (10)	1 (5)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,58 [0,190; 13,164] p = 0,6714	
2	N	43	19
	Ereignisse, n (%)	13 (30)	5 (26)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,14 [0,480; 2,703] p = 0,7677	
<b>08</b>			
1	N	42	17
	Ereignisse, n (%)	7 (17)	3 (18)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,89 [0,345; 2,288] p = 0,8071	
2	N	43	21
	Ereignisse, n (%)	10 (23)	3 (14)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,64 [0,497; 5,442] p = 0,4155	
<b>09</b>			
<b>10</b>			

<b>Verbesserung um 6 Punkte im MMT gegenüber Baseline in der proximalen Muskelgruppe MID = 15 %</b>		
	<b>Cipaglucosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<p><i>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach den zwei Faktoren „Baseline 6MWD“ und „ERT Status“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</i></p> <p><i>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</i></p>		

**35.7.1.03.10.2. Verschlechterung um 6 Punkte im MMT gegenüber Baseline in der proximalen Muskelgruppe MID = 15 %****35.7.1.03.10.2. Verschlechterung um 6 Punkte im MMT gegenüber Baseline in der proximalen Muskelgruppe MID = 15 %: Interaktionstest**

<b>Verschlechterung um 6 Punkte im MMT gegenüber Baseline in der proximalen Muskelgruppe MID = 15 %: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,4155
02	0,9745
03	0,5893
04	0,6566
05	0,5500
06	0,0754
07	0,2043
08	0,2355
09	0,9433
10	0,4056

<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.

**35.7.1.03.11.2. Verbesserung um 12 Punkte im MMT gegenüber Baseline im Gesamt-Score MID = 15 %****35.7.1.03.11.2. Verbesserung um 12 Punkte im MMT gegenüber Baseline im Gesamt-Score MID = 15 %: Interaktionstest**

<b>Verbesserung um 12 Punkte im MMT gegenüber Baseline im Gesamt-Score MID = 15 %: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	1,0000
02	1,0000
03	1,0000
04	1,0000
05	0,9999
06	1,0000
07	1,0000
08	1,0000
09	1,0000
10	1,0000
<i><sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

**35.7.1.03.11.2. Verbesserung um 12 Punkte im MMT gegenüber Baseline im Gesamt-Score MID = 15 %: Subgruppenanalyse**

Verbesserung um 12 Punkte im MMT gegenüber Baseline im Gesamt-Score MID = 15 %			
		Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo
<b>01</b>			
<b>02</b>			
<b>03</b>			
<b>04</b>			
<b>05</b>			
<b>06</b>			
<b>07</b>			
1	N	42	19
	Ereignisse, n (%)	4 (10)	1 (5)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,58 [0,190; 13,164] p = 0,6714	
2	N	43	19
	Ereignisse, n (%)	13 (30)	5 (26)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,14 [0,480; 2,703] p = 0,7677	
<b>08</b>			
1	N	42	17
	Ereignisse, n (%)	7 (17)	3 (18)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,89 [0,345; 2,288] p = 0,8071	
2	N	43	21
	Ereignisse, n (%)	10 (23)	3 (14)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,64 [0,497; 5,442] p = 0,4155	
<b>09</b>			
<b>10</b>			



<b>Verbesserung um 12 Punkte im MMT gegenüber Baseline im Gesamt-Score MID = 15 %</b>		
	<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidade alfa/Placebo</b>
<p><i>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach den zwei Faktoren „Baseline 6MWD“ und „ERT Status“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</i></p> <p><i>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</i></p>		

**35.7.1.03.12.2. Verschlechterung um 12 Punkte im MMT gegenüber Baseline im Gesamt-Score MID = 15 %****35.7.1.03.12.2. Verschlechterung um 12 Punkte im MMT gegenüber Baseline im Gesamt-Score MID = 15 %: Interaktionstest**

<b>Verschlechterung um 12 Punkte im MMT gegenüber Baseline im Gesamt-Score MID = 15 %: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,1229
02	1,0000
03	1,0000
04	1,0000
05	1,0000
06	0,2682
07	0,0945
08	1,0000
09	1,0000
10	0,1191

<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.

**35.7.1.03.13.2. Verbesserung im MMT gegenüber Baseline in der Muskelgruppe der unteren Extremitäten MID = 7 %****35.7.1.03.13.2. Verbesserung im MMT gegenüber Baseline in der Muskelgruppe der unteren Extremitäten MID = 7 %: Interaktionstest**

<b>Verbesserung im MMT gegenüber Baseline in der Muskelgruppe der unteren Extremitäten MID = 7 %: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,5752
02	0,7467
03	0,8133
04	0,9873
05	0,1526
06	0,6461
07	0,1463
08	0,5800
09	0,3005
10	0,1402

<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.

**35.7.1.03.13.2. Verbesserung im MMT gegenüber Baseline in der Muskelgruppe der unteren Extremitäten MID = 7 %: Subgruppenanalyse**

Verbesserung im MMT gegenüber Baseline in der Muskelgruppe der unteren Extremitäten MID = 7 %			
		Cipaglicosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo
<b>01</b>			
1	N	36	20
	Ereignisse, n (%)	13 (36)	4 (20)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,58 [0,645; 3,892] p = 0,3161	
2	N	49	18
	Ereignisse, n (%)	16 (33)	5 (28)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,25 [0,525; 2,973] p = 0,6145	
<b>02</b>			
<b>03</b>			
1	N	16	11
	Ereignisse, n (%)	4 (25)	3 (27)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,08 [0,355; 3,267] p = 0,8959	
2	N	43	12
	Ereignisse, n (%)	16 (37)	3 (25)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,30 [0,500; 3,392] p = 0,5889	
3	N	26	15
	Ereignisse, n (%)	9 (35)	3 (20)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	2,00 [0,617; 6,483] p = 0,2480	
<b>04</b>			
<b>05</b>			
<b>06</b>			
<b>07</b>			
1	N	42	19

<b>Verbesserung im MMT gegenüber Baseline in der Muskelgruppe der unteren Extremitäten MID = 7 %</b>			
		<b>Cipaglucosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
	Ereignisse, n (%)	14 (33)	2 (11)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	2,78 [0,723; 10,701] p = 0,1366	
2	N	43	19
	Ereignisse, n (%)	15 (35)	7 (37)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,96 [0,487; 1,903] p = 0,9136	
<b>08</b>			
1	N	42	17
	Ereignisse, n (%)	14 (33)	3 (18)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,73 [0,640; 4,674] p = 0,2805	
2	N	43	21
	Ereignisse, n (%)	15 (35)	6 (29)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,22 [0,551; 2,692] p = 0,6266	
<b>09</b>			
<b>10</b>			
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach den zwei Faktoren „Baseline 6MWD“ und „ERT Status“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>			

**35.7.1.03.14.2. Keine Veränderung im MMT gegenüber Baseline in der Muskelgruppe der unteren Extremitäten MID = 7 %****35.7.1.03.14.2. Keine Veränderung im MMT gegenüber Baseline in der Muskelgruppe der unteren Extremitäten MID = 7 %: Interaktionstest**

<b>Keine Veränderung im MMT gegenüber Baseline in der Muskelgruppe der unteren Extremitäten MID = 7 %: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,8732
02	0,8431
03	0,8145
04	0,9161
05	0,8083
06	0,5460
07	0,1285
08	0,4141
09	0,2921
10	0,3972

<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.

**35.7.1.03.14.2. Keine Veränderung im MMT gegenüber Baseline in der Muskelgruppe der unteren Extremitäten MID = 7 %: Subgruppenanalyse**

<b>Keine Veränderung im MMT gegenüber Baseline in der Muskelgruppe der unteren Extremitäten MID = 7 %</b>			
		<b>Cipaglicosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>01</b>			
1	N	36	20
	Ereignisse, n (%)	19 (53)	12 (60)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,89 [0,561; 1,423] p = 0,6350	
2	N	49	18
	Ereignisse, n (%)	22 (45)	10 (56)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,73 [0,438; 1,225] p = 0,2354	
<b>02</b>			
<b>03</b>			
1	N	16	11
	Ereignisse, n (%)	7 (44)	6 (55)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,75 [0,337; 1,686] p = 0,4908	
2	N	43	12
	Ereignisse, n (%)	24 (56)	7 (58)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,00 [0,592; 1,697] p = 0,9927	
3	N	26	15
	Ereignisse, n (%)	10 (38)	9 (60)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,56 [0,303; 1,048] p = 0,0699	
<b>04</b>			
<b>05</b>			
<b>06</b>			
<b>07</b>			
1	N	42	19

<b>Keine Veränderung im MMT gegenüber Baseline in der Muskelgruppe der unteren Extremitäten MID = 7 %</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
	Ereignisse, n (%)	14 (33)	12 (63)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,51 [0,300; 0,859] p = 0,0115	
2	N	43	19
	Ereignisse, n (%)	27 (63)	10 (53)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,19 [0,760; 1,849] p = 0,4542	
<b>08</b>			
1	N	42	17
	Ereignisse, n (%)	18 (43)	11 (65)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,58 [0,327; 1,021] p = 0,0590	
2	N	43	21
	Ereignisse, n (%)	23 (53)	11 (52)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,03 [0,623; 1,696] p = 0,9139	
<b>09</b>			
<b>10</b>			
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach den zwei Faktoren „Baseline 6MWD“ und „ERT Status“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>			



**35.7.1.03.15.2. Verschlechterung im MMT gegenüber Baseline in der Muskelgruppe der unteren Extremitäten MID = 7 %****35.7.1.03.15.2. Verschlechterung im MMT gegenüber Baseline in der Muskelgruppe der unteren Extremitäten MID = 7 %: Interaktionstest**

<b>Verschlechterung im MMT gegenüber Baseline in der Muskelgruppe der unteren Extremitäten MID = 7 %: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,3508
02	0,3299
03	0,4961
04	0,4074
05	0,4024
06	0,2756
07	0,1736
08	0,3945
09	0,0606
10	0,5216

<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.

**35.7.1.03.15.2. Verschlechterung im MMT gegenüber Baseline in der Muskelgruppe der unteren Extremitäten MID = 7 %: Subgruppenanalyse**

Verschlechterung im MMT gegenüber Baseline in der Muskelgruppe der unteren Extremitäten MID = 7 %			
		Cipaglicosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo
<b>01</b>			
1	N	36	20
	Ereignisse, n (%)	4 (11)	4 (20)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,65 [0,237; 1,799] p = 0,4097	
2	N	49	18
	Ereignisse, n (%)	11 (22)	3 (17)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,58 [0,466; 5,354] p = 0,4634	
<b>02</b>			
<b>03</b>			
1	N	16	11
	Ereignisse, n (%)	4 (25)	3 (27)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,08 [0,355; 3,267] p = 0,8959	
2	N	43	12
	Ereignisse, n (%)	16 (37)	3 (25)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,30 [0,500; 3,392] p = 0,5889	
3	N	26	15
	Ereignisse, n (%)	9 (35)	3 (20)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	2,00 [0,617; 6,483] p = 0,2480	
<b>04</b>			
<b>05</b>			
<b>06</b>			
<b>07</b>			
1	N	42	19

<b>Verschlechterung im MMT gegenüber Baseline in der Muskelgruppe der unteren Extremitäten MID = 7 %</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
	Ereignisse, n (%)	14 (33)	5 (26)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,47 [0,640; 3,393] p = 0,3628	
2	N	43	19
	Ereignisse, n (%)	1 (2)	2 (11)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,20 [0,019; 2,157] p = 0,1847	
<b>08</b>			
1	N	42	17
	Ereignisse, n (%)	10 (24)	3 (18)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,75 [0,573; 5,324] p = 0,3270	
2	N	43	21
	Ereignisse, n (%)	5 (12)	4 (19)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,60 [0,212; 1,670] p = 0,3247	
<b>09</b>			
<b>10</b>			
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach den zwei Faktoren „Baseline 6MWD“ und „ERT Status“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>			

**Quantitative Muscle Test (QMT)****35.7.1.04****35.7.1.04.01.1. Veränderung des QMT-Wertes - Obere Extremitäten (in kg)****35.7.1.04.01.1. Veränderung des QMT-Wertes - Obere Extremitäten (in kg):  
Interaktionstest**

<b>Veränderung des QMT-Wertes - Obere Extremitäten (in kg): Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,2849
02	0,7169
03	0,0807
04	0,0771
05	0,5275
06	0,1080
07	0,0433
08	0,1627
09	0,0315
10	0,6996

<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.

In dem Interaktionstest bei Subgruppe 09 ERT-Dauer wird die Variable ERT-Status aus dem Model entfernt, da es keine Dauer der ERT Behandlung für ERT naive Patienten gibt

**35.7.1.04.01.1. Veränderung des QMT-Wertes - Obere Extremitäten (in kg): Subgruppenanalyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>Veränderung des QMT-Wertes - Obere Extremitäten (in kg)</b>			
Baseline-Werte			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	34/36 (94)	20/20 (100)	-
MW (SD)	80,60 (28,093)	78,32 (29,827)	
2			
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	-
MW (SD)	59,22 (32,136)	53,26 (19,652)	
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	-
MW (SD)	59,09 (18,677)	58,50 (19,832)	
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	-
MW (SD)	72,10 (38,376)	73,12 (37,911)	
3			
n/N (%)	24/26 (92)	15/15 (100)	-
MW (SD)	66,52 (26,092)	66,94 (24,555)	
<b>07</b>			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
1			
n/N (%)	40/42 (95)	19/19 (100)	-
MW (SD)	60,43 (37,482)	57,43 (25,782)	
2			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	-
MW (SD)	75,00 (24,689)	75,47 (28,243)	
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	40/42 (95)	17/17 (100)	-
MW (SD)	60,47 (23,105)	58,10 (20,517)	
2			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	-
MW (SD)	74,96 (37,675)	73,21 (32,045)	
Änderung zu Woche 12			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	34/36 (94)	20/20 (100)	Hedges` g
MW (SD)	1,97 (16,469)	-5,80 (19,951)	0,43 [-0,129; 0,988]
LS MW (SE)	4,02 (2,764)	-9,29 (3,670)	LS MD
95 %-KI	-1,540; 9,581	-16,674; -1,909	13,31 [3,776; 22,849] 0,0072
2			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-2,27 (29,374)	-2,05 (10,360)	-0,01 [-0,549; 0,532]
LS MW (SE)	-1,38 (2,095)	-4,47 (3,550)	LS MD
95 %-KI	-5,571; 2,810	-11,576; 2,628	3,09 [-5,336; 11,523] 0,4658
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges` g
MW (SD)	3,83 (12,854)	1,47 (12,388)	0,18 [-0,589; 0,950]
LS MW (SE)	5,43 (3,170)	-0,87 (3,958)	LS MD
95 %-KI	-1,202; 12,068	-9,155; 7,416	6,30 [-5,228; 17,833] 0,2668
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-4,87 (31,120)	-5,14 (20,241)	0,01 [-0,631; 0,649]
LS MW (SE)	-4,57 (2,821)	-6,21 (5,370)	LS MD
95 %-KI	-10,245; 1,106	-17,013; 4,593	1,64 [-10,603; 13,884] 0,7887
3			
n/N (%)	24/26 (92)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	4,32 (16,012)	-7,16 (14,604)	0,73 [0,058; 1,393]
LS MW (SE)	4,45 (2,862)	-7,36 (3,681)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-1,393; 10,283	-14,862; 0,151	11,80 [1,976; 21,625] 0,0201
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	40/42 (95)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-4,42 (32,932)	-0,00 (7,508)	-0,16 [-0,705; 0,389]
LS MW (SE)	-3,24 (2,485)	-2,49 (3,697)	LS MD
95 %-KI	-8,225; 1,754	-9,909; 4,935	-0,75 [-9,958; 8,462] 0,8711
2			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	3,08 (13,154)	-8,05 (20,938)	0,69 [0,137; 1,245]
LS MW (SE)	3,45 (2,375)	-8,90 (3,609)	LS MD
95 %-KI	-1,308; 8,215	-16,137; -1,665	12,35 [3,598; 21,112] 0,0065
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	40/42 (95)	17/17 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,18 (14,556)	-3,54 (13,813)	0,26 [-0,314; 0,825]
LS MW (SE)	0,53 (2,205)	-4,36 (3,438)	LS MD
95 %-KI	-3,907; 4,957	-11,266; 2,553	4,88 [-3,463; 13,226] 0,2454



PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
2			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-1,20 (31,782)	-4,42 (17,973)	0,11 [-0,409; 0,636]
LS MW (SE)	0,60 (2,867)	-8,09 (4,190)	LS MD
95 %-KI	-5,147; 6,341	-16,484; 0,303	8,69 [-1,752; 19,126] 0,1011
Änderung zu Woche 26			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	33/36 (92)	20/20 (100)	Hedges` g
MW (SD)	2,24 (17,545)	4,69 (14,142)	-0,15 [-0,704; 0,409]
LS MW (SE)	2,27 (2,826)	4,63 (3,691)	LS MD
95 %-KI	-3,413; 7,962	-2,798; 12,059	-2,36 [-12,005; 7,294] 0,6255
2			
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-1,63 (28,814)	-3,44 (9,834)	0,07 [-0,469; 0,611]
LS MW (SE)	-0,89 (2,041)	-5,46 (3,459)	LS MD
95 %-KI	-4,971; 3,194	-12,378; 1,459	4,57 [-3,640; 12,783] 0,2699
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	2,07 (10,865)	1,50 (12,558)	0,05 [-0,719; 0,816]
LS MW (SE)	3,38 (2,777)	-0,41 (3,467)	LS MD
95 %-KI	-2,427; 9,196	-7,669; 6,845	3,80 [-6,303; 13,896] 0,4411
2			
n/N (%)	42/43 (98)	12/12 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-4,63 (32,238)	4,07 (10,850)	-0,29 [-0,939; 0,349]
LS MW (SE)	-4,46 (2,987)	3,47 (5,627)	LS MD
95 %-KI	-10,470; 1,555	-7,859; 14,795	-7,93 [-20,804; 4,953] 0,2217
3			
n/N (%)	24/26 (92)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	6,47 (12,587)	-2,23 (14,460)	0,64 [-0,023; 1,302]
LS MW (SE)	5,98 (2,579)	-1,44 (3,316)	LS MD
95 %-KI	0,718; 11,237	-8,203; 5,323	7,42 [-1,433; 16,269] 0,0974
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	40/42 (95)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-4,37 (31,380)	-1,33 (8,737)	-0,11 [-0,660; 0,433]
LS MW (SE)	-2,99 (2,439)	-4,22 (3,628)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-7,891; 1,903	-11,502; 3,066	1,22 [-7,815; 10,263] 0,7869
2			
n/N (%)	42/43 (98)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	4,02 (15,737)	3,00 (15,842)	0,06 [-0,479; 0,605]
LS MW (SE)	3,92 (2,402)	3,22 (3,606)	LS MD
95 %-KI	-0,901; 8,737	-4,009; 10,455	0,69 [-8,088; 9,478] 0,8745
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	40/42 (95)	17/17 (100)	Hedges` g
MW (SD)	2,25 (13,897)	1,51 (12,710)	0,05 [-0,514; 0,621]
LS MW (SE)	2,43 (2,042)	1,09 (3,184)	LS MD
95 %-KI	-1,677; 6,530	-5,312; 7,484	1,34 [-6,386; 9,067] 0,7288
2			
n/N (%)	42/43 (98)	21/21 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-2,28 (32,024)	0,29 (13,175)	-0,09 [-0,617; 0,431]
LS MW (SE)	-1,26 (2,866)	-1,75 (4,135)	LS MD
95 %-KI	-7,004; 4,484	-10,034; 6,539	0,49 [-9,857; 10,832] 0,9251
Änderung zu Woche 38			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	34/36 (94)	20/20 (100)	Hedges` g
MW (SD)	3,68 (22,140)	4,59 (18,795)	-0,04 [-0,595; 0,510]
LS MW (SE)	4,82 (3,444)	2,65 (4,572)	LS MD
95 %-KI	-2,107; 11,750	-6,550; 11,847	2,17 [-9,710; 14,055] 0,7146
2			
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,76 (29,494)	-2,01 (10,804)	0,05 [-0,492; 0,588]
LS MW (SE)	0,07 (1,916)	-4,27 (3,246)	LS MD
95 %-KI	-3,761; 3,903	-10,761; 2,226	4,34 [-3,369; 12,046] 0,2646
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges` g
MW (SD)	6,37 (9,467)	4,66 (12,016)	0,16 [-0,612; 0,926]
LS MW (SE)	6,51 (2,994)	4,46 (3,739)	LS MD
95 %-KI	0,240; 12,774	-3,362; 12,290	2,04 [-8,848; 12,935] 0,6989
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	-4,40 (34,395)	4,78 (14,606)	-0,29 [-0,931; 0,354]
LS MW (SE)	-4,06 (3,300)	3,56 (6,282)	LS MD
95 %-KI	-10,702; 2,576	-9,075; 16,200	-7,62 [-21,948; 6,698] 0,2897
<b>3</b>			
n/N (%)	24/26 (92)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	7,31 (14,181)	-3,53 (18,324)	0,67 [0,005; 1,333]
LS MW (SE)	7,33 (2,861)	-3,57 (3,678)	LS MD
95 %-KI	1,496; 13,164	-11,076; 3,928	10,90 [1,086; 20,723] 0,0306
<b>07</b>			
<b>1</b>			
n/N (%)	40/42 (95)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-2,26 (33,897)	0,89 (11,418)	-0,11 [-0,654; 0,439]
LS MW (SE)	-0,89 (2,843)	-1,99 (4,229)	LS MD
95 %-KI	-6,598; 4,816	-10,478; 6,501	1,10 [-9,438; 11,631] 0,8353
<b>2</b>			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	4,15 (17,366)	2,04 (19,366)	0,12 [-0,424; 0,656]
LS MW (SE)	4,39 (2,681)	1,49 (4,075)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-0,987; 9,765	-6,680; 9,659	2,90 [-6,988; 12,786] 0,5591
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	40/42 (95)	17/17 (100)	Hedges` g
MW (SD)	5,40 (15,807)	0,51 (16,789)	0,30 [-0,271; 0,870]
LS MW (SE)	5,84 (2,243)	-0,54 (3,497)	LS MD
95 %-KI	1,336; 10,350	-7,564; 6,489	6,38 [-2,106; 14,866] 0,1372
2			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-2,97 (33,499)	2,23 (15,120)	-0,18 [-0,701; 0,345]
LS MW (SE)	-1,93 (3,224)	0,09 (4,712)	LS MD
95 %-KI	-8,387; 4,531	-9,347; 9,529	-2,02 [-13,757; 9,720] 0,7318
Änderung zu Woche 52			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	34/36 (94)	20/20 (100)	Hedges` g
MW (SD)	3,02 (21,537)	3,17 (17,209)	-0,01 [-0,560; 0,545]
LS MW (SE)	3,02 (3,252)	3,16 (4,317)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-3,520; 9,562	-5,520; 11,848	-0,14 [-11,361; 11,075] 0,9797
2			
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,37 (30,588)	0,78 (10,880)	-0,04 [-0,583; 0,498]
LS MW (SE)	0,42 (2,196)	-1,39 (3,721)	LS MD
95 %-KI	-3,968; 4,817	-8,830; 6,058	1,81 [-7,025; 10,646] 0,6833
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges` g
MW (SD)	5,91 (15,186)	4,64 (15,998)	0,08 [-0,688; 0,848]
LS MW (SE)	7,57 (3,597)	2,23 (4,492)	LS MD
95 %-KI	0,038; 15,095	-7,170; 11,632	5,34 [-7,748; 18,419] 0,4040
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-2,71 (34,962)	6,54 (12,212)	-0,29 [-0,931; 0,354]
LS MW (SE)	-2,40 (3,288)	5,44 (6,259)	LS MD
95 %-KI	-9,014; 4,215	-7,151; 18,030	-7,84 [-22,110; 6,431] 0,2747
3			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
n/N (%)	24/26 (92)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	4,42 (13,820)	-3,47 (13,942)	0,56 [-0,101; 1,216]
LS MW (SE)	4,28 (2,584)	-3,23 (3,323)	LS MD
95 %-KI	-0,995; 9,546	-10,007; 3,548	7,51 [-1,365; 16,375] 0,0944
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	40/42 (95)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-2,75 (34,263)	1,72 (13,774)	-0,15 [-0,697; 0,397]
LS MW (SE)	-1,97 (2,913)	0,06 (4,334)	LS MD
95 %-KI	-7,815; 3,883	-8,638; 8,762	-2,03 [-12,824; 8,768] 0,7076
2			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	4,52 (17,973)	2,36 (15,410)	0,12 [-0,417; 0,664]
LS MW (SE)	4,62 (2,552)	2,13 (3,878)	LS MD
95 %-KI	-0,493; 9,740	-5,643; 9,907	2,49 [-6,918; 11,902] 0,5976
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	40/42 (95)	17/17 (100)	Hedges` g
MW (SD)	4,49 (14,297)	-0,55 (15,821)	0,34 [-0,234; 0,908]



PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
LS MW (SE)	4,66 (2,312)	-0,95 (3,604)	LS MD
95 %-KI	0,012; 9,303	-8,191; 6,293	5,61 [-3,139; 14,352] 0,2037
2			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-2,21 (35,033)	4,14 (13,196)	-0,21 [-0,734; 0,313]
LS MW (SE)	-1,02 (3,339)	1,68 (4,879)	LS MD
95 %-KI	-7,703; 5,673	-8,090; 11,456	-2,70 [-14,853; 9,456] 0,6582
<p><sup>a</sup>Die Veränderung der Punktwerte gegenüber Baseline plus 95 %-KI und p-Wert zu jedem spezifizierten Zeitpunkt wurden mit einer ANCOVA, stratifiziert nach Geschlecht, Alter, Gewicht und Größe zu Baseline und ERT-Status mit dem Baseline-Wert der jeweiligen Skala als Kovariate auf Basis der Mittelwerte der kleinsten Quadrate analysiert.durch die gepoolte Standardabweichung.</p> <p>ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; LS MD: Mittelwertdifferenz der kleinsten Quadrate; LS MW (SE): Mittelwert der kleinsten Quadrate (Standardfehler); MW (SD): Mittelwert (Standardabweichung); N: Patienten mit Baselinewert; n: Anzahl der Patienten mit Baselinewert in der Analyse</p>			

**35.7.1.04.02.1. Veränderung des QMT-Wertes - Untere Extremitäten (in kg)****35.7.1.04.02.1. Veränderung des QMT-Wertes - Untere Extremitäten (in kg): Interaktionstest**

<b>Veränderung des QMT-Wertes - Untere Extremitäten (in kg): Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,1964
02	0,1729
03	0,1761
04	0,1254
05	0,2863
06	0,0106
07	0,6489
08	0,6491
09	0,7833
10	0,2629

*<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.*

*In dem Interaktionstest bei Subgruppe 09 ERT-Dauer wird die Variable ERT-Status aus dem Model entfernt, da es keine Dauer der ERT Behandlung für ERT naive Patienten gibt*

**35.7.1.04.02.1. Veränderung des QMT-Wertes - Untere Extremitäten (in kg): Subgruppenanalyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>Veränderung des QMT-Wertes - Untere Extremitäten (in kg)</b>			
Baseline-Werte			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	34/36 (94)	19/20 (95)	-
MW (SD)	116,19 (43,682)	119,80 (65,064)	
2			
n/N (%)	47/49 (96)	18/18 (100)	-
MW (SD)	84,07 (37,270)	71,55 (38,952)	
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	15/16 (94)	11/11 (100)	-
MW (SD)	82,72 (27,874)	83,38 (54,311)	
2			
n/N (%)	42/43 (98)	11/12 (92)	-
MW (SD)	101,09 (44,315)	115,47 (79,155)	
3			
n/N (%)	24/26 (92)	15/15 (100)	-
MW (SD)	100,64 (47,444)	91,79 (42,400)	
<b>07</b>			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
<b>N</b>	<b>85</b>	<b>38</b>	-
1			
n/N (%)	39/42 (93)	18/19 (95)	-
MW (SD)	75,75 (35,519)	83,81 (56,412)	
2			
n/N (%)	42/43 (98)	19/19 (100)	-
MW (SD)	117,80 (39,363)	108,19 (59,588)	
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	39/42 (93)	17/17 (100)	-
MW (SD)	91,55 (43,078)	77,76 (32,051)	
2			
n/N (%)	42/43 (98)	20/21 (95)	-
MW (SD)	103,13 (42,482)	112,10 (71,168)	
Änderung zu Woche 12			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	33/36 (92)	19/20 (95)	Hedges` g
MW (SD)	11,13 (21,208)	-3,97 (34,979)	0,55 [-0,024; 1,126]
LS MW (SE)	12,84 (4,877)	-6,92 (6,543)	LS MD
95 %-KI	3,014; 22,659	-20,101; 6,254	19,76 [2,830; 36,690] 0,0232
2			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
n/N (%)	46/49 (94)	18/18 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-3,48 (30,127)	4,27 (15,868)	-0,28 [-0,831; 0,263]
LS MW (SE)	-2,29 (3,611)	1,25 (5,936)	LS MD
95 %-KI	-9,525; 4,939	-10,635; 13,139	-3,55 [-17,808; 10,717] 0,6206
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	15/16 (94)	11/11 (100)	Hedges` g
MW (SD)	4,68 (11,744)	3,29 (31,988)	0,06 [-0,719; 0,838]
LS MW (SE)	8,24 (4,936)	-1,56 (5,882)	LS MD
95 %-KI	-2,133; 18,607	-13,915; 10,799	9,79 [-7,340; 26,929] 0,2453
2			
n/N (%)	42/43 (98)	11/12 (92)	Hedges` g
MW (SD)	-2,54 (32,155)	-4,98 (26,280)	0,08 [-0,587; 0,741]
LS MW (SE)	-3,14 (4,542)	-2,68 (8,971)	LS MD
95 %-KI	-12,287; 6,008	-20,743; 15,392	-0,46 [-20,836; 19,909] 0,9636
3			
n/N (%)	22/26 (85)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	11,09 (24,162)	1,34 (25,877)	0,38 [-0,279; 1,046]
LS MW (SE)	10,34 (5,199)	2,43 (6,399)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-0,290; 20,976	-10,661; 15,516	7,92 [-9,630; 25,462] 0,3638
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	38/42 (90)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-3,80 (29,783)	-0,64 (17,473)	-0,12 [-0,679; 0,444]
LS MW (SE)	-4,43 (3,363)	0,68 (5,014)	LS MD
95 %-KI	-11,192; 2,331	-9,404; 10,759	-5,11 [-17,621; 7,406] 0,4159
2			
n/N (%)	41/43 (95)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	8,59 (24,234)	0,69 (34,742)	0,28 [-0,267; 0,826]
LS MW (SE)	9,54 (4,567)	-1,37 (6,827)	LS MD
95 %-KI	0,379; 18,708	-15,070; 12,328	10,91 [-5,901; 27,729] 0,1985
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	38/42 (90)	17/17 (100)	Hedges` g
MW (SD)	3,88 (17,347)	6,71 (28,845)	-0,13 [-0,702; 0,443]
LS MW (SE)	4,92 (3,585)	4,39 (5,497)	LS MD
95 %-KI	-2,294; 12,129	-6,665; 15,450	0,53 [-13,041; 14,092] 0,9382

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
2			
n/N (%)	41/43 (95)	20/21 (95)	Hedges` g
MW (SD)	1,47 (34,674)	-5,63 (25,361)	0,22 [-0,317; 0,755]
LS MW (SE)	1,36 (4,847)	-5,40 (7,085)	LS MD
95 %-KI	-8,366; 11,078	-19,613; 8,809	6,76 [-10,909; 24,425] 0,4463
Änderung zu Woche 26			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	34/36 (94)	19/20 (95)	Hedges` g
MW (SD)	10,13 (21,626)	16,97 (32,150)	-0,26 [-0,825; 0,303]
LS MW (SE)	10,41 (4,735)	16,47 (6,456)	LS MD
95 %-KI	0,880; 19,943	3,471; 29,461	-6,05 [-22,657; 10,548] 0,4666
2			
n/N (%)	46/49 (94)	18/18 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,30 (30,859)	0,82 (14,426)	-0,04 [-0,585; 0,505]
LS MW (SE)	0,70 (3,834)	-1,73 (6,320)	LS MD
95 %-KI	-6,979; 8,378	-14,385; 10,925	2,43 [-12,779; 17,638] 0,7502
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	15/16 (94)	11/11 (100)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	5,89 (16,106)	8,51 (29,461)	-0,11 [-0,891; 0,667]
LS MW (SE)	9,69 (5,430)	3,33 (6,471)	LS MD
95 %-KI	-1,724; 21,094	-10,261; 16,930	6,35 [-12,501; 25,202] 0,4882
2			
n/N (%)	42/43 (98)	11/12 (92)	Hedges` g
MW (SD)	0,08 (31,771)	10,16 (27,886)	-0,32 [-0,987; 0,347]
LS MW (SE)	-0,23 (4,770)	11,36 (9,422)	LS MD
95 %-KI	-9,837; 9,379	-7,617; 30,337	-11,59 [-32,987; 9,809] 0,2812
3			
n/N (%)	23/26 (88)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	10,38 (25,010)	8,79 (24,027)	0,06 [-0,587; 0,714]
LS MW (SE)	8,55 (5,370)	11,59 (6,783)	LS MD
95 %-KI	-2,413; 19,523	-2,264; 25,442	-3,03 [-21,477; 15,408] 0,7392
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	38/42 (90)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-4,09 (30,501)	-3,39 (13,519)	-0,03 [-0,587; 0,534]
LS MW (SE)	-5,21 (3,581)	-1,03 (5,343)	LS MD



PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-12,412; 1,988	-11,770; 9,717	-4,19 [-17,528; 9,157] 0,5312
2			
n/N (%)	42/43 (98)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	11,58 (22,681)	20,96 (29,787)	-0,37 [-0,916; 0,177]
LS MW (SE)	11,92 (3,924)	20,20 (5,932)	LS MD
95 %-KI	4,050; 19,790	8,302; 32,098	-8,28 [-22,812; 6,252] 0,2582
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	39/42 (93)	17/17 (100)	Hedges` g
MW (SD)	5,35 (17,221)	11,59 (26,429)	-0,30 [-0,874; 0,271]
LS MW (SE)	5,67 (3,177)	10,85 (4,933)	LS MD
95 %-KI	-0,718; 12,057	0,932; 20,767	-5,18 [-17,284; 6,924] 0,3938
2			
n/N (%)	41/43 (95)	20/21 (95)	Hedges` g
MW (SD)	2,98 (35,011)	7,01 (26,345)	-0,12 [-0,658; 0,412]
LS MW (SE)	2,56 (5,052)	7,88 (7,379)	LS MD
95 %-KI	-7,578; 12,689	-6,921; 22,677	-5,32 [-23,705; 13,060] 0,5639
Änderung zu Woche 38			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	34/36 (94)	19/20 (95)	Hedges` g
MW (SD)	14,97 (35,528)	14,65 (27,040)	0,01 [-0,552; 0,571]
LS MW (SE)	15,84 (6,029)	13,09 (8,220)	LS MD
95 %-KI	3,705; 27,978	-3,459; 29,634	2,75 [-18,386; 23,895] 0,7943
2			
n/N (%)	46/49 (94)	18/18 (100)	Hedges` g
MW (SD)	1,55 (31,257)	1,05 (15,366)	0,02 [-0,527; 0,563]
LS MW (SE)	2,12 (3,747)	-0,41 (6,175)	LS MD
95 %-KI	-5,379; 9,626	-12,773; 11,957	2,53 [-12,328; 17,392] 0,7342
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	15/16 (94)	11/11 (100)	Hedges` g
MW (SD)	11,37 (13,638)	15,84 (23,953)	-0,23 [-1,013; 0,549]
LS MW (SE)	13,07 (4,881)	13,53 (5,817)	LS MD
95 %-KI	2,817; 23,326	1,307; 25,747	-0,46 [-17,400; 16,490] 0,9556
2			
n/N (%)	42/43 (98)	11/12 (92)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	2,69 (40,550)	6,61 (24,867)	-0,10 [-0,766; 0,562]
LS MW (SE)	2,10 (5,816)	8,89 (11,487)	LS MD
95 %-KI	-9,617; 13,812	-14,245; 32,029	-6,79 [-32,883; 19,295] 0,6025
3			
n/N (%)	23/26 (88)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	12,89 (28,007)	3,35 (20,599)	0,37 [-0,288; 1,024]
LS MW (SE)	11,16 (5,360)	6,01 (6,771)	LS MD
95 %-KI	0,212; 22,107	-7,817; 19,837	5,15 [-13,259; 23,558] 0,5720
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	38/42 (90)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	1,89 (35,380)	-0,38 (14,694)	0,07 [-0,487; 0,635]
LS MW (SE)	0,30 (4,270)	2,98 (6,372)	LS MD
95 %-KI	-8,286; 8,886	-9,834; 15,790	-2,68 [-18,591; 13,234] 0,7365
2			
n/N (%)	42/43 (98)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	12,11 (31,523)	16,01 (26,592)	-0,13 [-0,670; 0,414]
LS MW (SE)	12,79 (4,840)	14,49 (7,317)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	3,083; 22,499	-0,183; 29,170	-1,70 [-19,629; 16,223] 0,8496
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	39/42 (93)	17/17 (100)	Hedges` g
MW (SD)	13,65 (24,031)	10,46 (23,742)	0,13 [-0,439; 0,702]
LS MW (SE)	13,72 (3,590)	10,30 (5,574)	LS MD
95 %-KI	6,505; 20,943	-0,907; 21,509	3,42 [-10,256; 17,102] 0,6172
2			
n/N (%)	41/43 (95)	20/21 (95)	Hedges` g
MW (SD)	1,17 (40,024)	5,97 (22,570)	-0,13 [-0,669; 0,401]
LS MW (SE)	0,23 (5,524)	7,89 (8,067)	LS MD
95 %-KI	-10,849; 11,310	-8,290; 24,071	-7,66 [-27,758; 12,437] 0,4480
Änderung zu Woche 52			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	34/36 (94)	19/20 (95)	Hedges` g
MW (SD)	12,03 (28,755)	9,05 (23,238)	0,11 [-0,453; 0,671]
LS MW (SE)	12,23 (4,911)	8,68 (6,695)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	2,345; 22,114	-4,792; 22,160	3,54 [-13,672; 20,762] 0,6805
2			
n/N (%)	47/49 (96)	18/18 (100)	Hedges` g
MW (SD)	1,46 (32,912)	3,45 (17,473)	-0,07 [-0,610; 0,477]
LS MW (SE)	2,24 (4,056)	1,42 (6,746)	LS MD
95 %-KI	-5,882; 10,355	-12,084; 14,924	0,82 [-15,339; 16,971] 0,9198
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	15/16 (94)	11/11 (100)	Hedges` g
MW (SD)	11,36 (20,213)	10,48 (24,268)	0,04 [-0,739; 0,817]
LS MW (SE)	13,29 (5,650)	7,86 (6,732)	LS MD
95 %-KI	1,418; 25,157	-6,283; 22,005	5,43 [-14,187; 25,039] 0,5683
2			
n/N (%)	42/43 (98)	11/12 (92)	Hedges` g
MW (SD)	1,99 (38,592)	10,67 (23,430)	-0,24 [-0,902; 0,429]
LS MW (SE)	1,66 (5,553)	11,92 (10,968)	LS MD
95 %-KI	-9,520; 12,849	-10,172; 34,010	-10,25 [-35,164; 14,654] 0,4114
3			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
n/N (%)	24/26 (92)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	9,31 (22,032)	0,09 (14,240)	0,46 [-0,190; 1,119]
LS MW (SE)	8,81 (3,976)	0,88 (5,124)	LS MD
95 %-KI	0,700; 16,920	-9,568; 11,335	7,93 [-5,798; 21,651] 0,2478
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	39/42 (93)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	0,65 (32,560)	-1,54 (13,953)	0,08 [-0,482; 0,635]
LS MW (SE)	-0,63 (3,924)	1,24 (5,928)	LS MD
95 %-KI	-8,514; 7,256	-10,677; 13,148	-1,86 [-16,576; 12,846] 0,8000
2			
n/N (%)	42/43 (98)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	10,76 (30,025)	13,77 (23,243)	-0,11 [-0,648; 0,437]
LS MW (SE)	11,08 (4,484)	13,07 (6,779)	LS MD
95 %-KI	2,086; 20,074	-0,522; 26,672	-1,99 [-18,602; 14,613] 0,8105
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	39/42 (93)	17/17 (100)	Hedges` g
MW (SD)	10,24 (23,459)	3,79 (19,996)	0,28 [-0,290; 0,855]

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
LS MW (SE)	10,37 (3,810)	3,49 (5,916)	LS MD
95 %-KI	2,708; 18,030	-8,404; 15,385	6,88 [-7,639; 21,395] 0,3455
2			
n/N (%)	42/43 (98)	20/21 (95)	Hedges` g
MW (SD)	1,86 (37,282)	8,48 (21,276)	-0,20 [-0,731; 0,336]
LS MW (SE)	1,41 (4,988)	9,42 (7,374)	LS MD
95 %-KI	-8,588; 11,414	-5,363; 24,204	-8,01 [-26,285; 10,270] 0,3836
<p><sup>a</sup>Die Veränderung der Punktwerte gegenüber Baseline plus 95 %-KI und p-Wert zu jedem spezifizierten Zeitpunkt wurden mit einer ANCOVA, stratifiziert nach Geschlecht, Alter, Gewicht und Größe zu Baseline und ERT-Status mit dem Baseline-Wert der jeweiligen Skala als Kovariate auf Basis der Mittelwerte der kleinsten Quadrate analysiert.durch die gepoolte Standardabweichung.</p> <p>ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; LS MD: Mittelwertdifferenz der kleinsten Quadrate; LS MW (SE): Mittelwert der kleinsten Quadrate (Standardfehler); MW (SD): Mittelwert (Standardabweichung); N: Patienten mit Baselinewert; n: Anzahl der Patienten mit Baselinewert in der Analyse</p>			

**35.7.1.04.03.1. Veränderung des QMT- Gesamtwert (in kg)****35.7.1.04.03.1. Veränderung des QMT- Gesamtwert (in kg): Interaktionstest**

<b>Veränderung des QMT- Gesamtwert (in kg): Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,1939
02	0,3566
03	0,0863
04	0,5348
05	0,6230
06	0,0171
07	0,3919
08	0,3131
09	0,7482
10	0,3829

*<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.*

*In dem Interaktionstest bei Subgruppe 09 ERT-Dauer wird die Variable ERT-Status aus dem Model entfernt, da es keine Dauer der ERT Behandlung für ERT naive Patienten gibt*



**35.7.1.04.03.1. Veränderung des QMT- Gesamtwert (in kg): Subgruppenanalyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglicosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>Veränderung des QMT- Gesamtwert (in kg)</b>			
Baseline-Werte			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	34/36 (94)	19/20 (95)	-
MW (SD)	196,79 (64,537)	199,07 (89,835)	
2			
n/N (%)	47/49 (96)	18/18 (100)	-
MW (SD)	143,56 (64,367)	124,81 (54,942)	
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	15/16 (94)	11/11 (100)	-
MW (SD)	142,96 (40,807)	141,88 (68,462)	
2			
n/N (%)	42/43 (98)	11/12 (92)	-
MW (SD)	173,38 (77,266)	189,76 (116,192)	
3			
n/N (%)	24/26 (92)	15/15 (100)	-
MW (SD)	167,16 (67,749)	158,73 (61,302)	
<b>07</b>			
1			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
<b>N</b>	<b>85</b>	<b>38</b>	-
n/N (%)	39/42 (93)	18/19 (95)	-
MW (SD)	136,66 (68,337)	141,08 (78,749)	
<b>2</b>			
n/N (%)	42/43 (98)	19/19 (100)	-
MW (SD)	193,06 (58,881)	183,66 (83,453)	
<b>08</b>			
<b>1</b>			
n/N (%)	39/42 (93)	17/17 (100)	-
MW (SD)	151,94 (60,548)	135,86 (48,409)	
<b>2</b>			
n/N (%)	42/43 (98)	20/21 (95)	-
MW (SD)	178,88 (74,889)	185,96 (99,204)	
Änderung zu Woche 12			
<b>01</b>			
<b>1</b>			
n/N (%)	33/36 (92)	19/20 (95)	Hedges` g
MW (SD)	12,09 (31,331)	-9,99 (48,245)	0,57 [-0,008; 1,144]
LS MW (SE)	15,17 (6,870)	-15,33 (9,223)	LS MD
95 %-KI	1,328; 29,002	-33,912; 3,242	30,50 [6,611; 54,389] 0,0135
<b>2</b>			
n/N (%)	46/49 (94)	18/18 (100)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	-6,22 (58,552)	2,23 (22,332)	-0,16 [-0,708; 0,383]
LS MW (SE)	-3,66 (5,672)	-4,30 (9,325)	LS MD
95 %-KI	-15,023; 7,694	-22,970; 14,376	0,63 [-21,776; 23,040] 0,9551
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	15/16 (94)	11/11 (100)	Hedges` g
MW (SD)	7,67 (23,172)	4,76 (40,535)	0,09 [-0,689; 0,868]
LS MW (SE)	13,00 (7,715)	-2,51 (9,229)	LS MD
95 %-KI	-3,206; 29,212	-21,901; 16,876	15,52 [-11,609; 42,639] 0,2450
2			
n/N (%)	42/43 (98)	11/12 (92)	Hedges` g
MW (SD)	-8,52 (60,413)	-10,44 (47,150)	0,03 [-0,631; 0,697]
LS MW (SE)	-9,68 (7,254)	-5,99 (14,303)	LS MD
95 %-KI	-24,296; 4,926	-34,798; 22,819	-3,70 [-36,160; 28,769] 0,8197
3			
n/N (%)	22/26 (85)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	16,17 (34,815)	-5,82 (28,962)	0,66 [-0,015; 1,335]
LS MW (SE)	15,07 (6,793)	-4,21 (8,361)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	1,175; 28,962	-21,306; 12,894	19,27 [-3,644; 42,193] 0,0961
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	38/42 (90)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-8,67 (61,580)	-0,56 (17,551)	-0,15 [-0,716; 0,408]
LS MW (SE)	-8,76 (5,356)	-0,37 (7,977)	LS MD
95 %-KI	-19,527; 2,012	-16,413; 15,666	-8,38 [-28,273; 11,505] 0,4009
2			
n/N (%)	41/43 (95)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	10,79 (33,299)	-7,36 (50,602)	0,45 [-0,097; 1,004]
LS MW (SE)	12,04 (6,479)	-10,04 (9,663)	LS MD
95 %-KI	-0,965; 25,036	-29,432; 9,350	22,08 [-1,683; 45,836] 0,0679
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	38/42 (90)	17/17 (100)	Hedges` g
MW (SD)	4,01 (26,490)	3,18 (34,576)	0,03 [-0,544; 0,600]
LS MW (SE)	4,94 (5,052)	1,10 (7,740)	LS MD
95 %-KI	-5,229; 15,099	-14,469; 16,674	3,83 [-15,258; 22,924] 0,6881

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
2			
n/N (%)	41/43 (95)	20/21 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,96 (64,358)	-10,19 (40,383)	0,16 [-0,378; 0,693]
LS MW (SE)	-0,28 (7,554)	-11,58 (11,040)	LS MD
95 %-KI	-15,431; 14,871	-33,724; 10,563	11,30 [-16,223; 38,824] 0,4139
Änderung zu Woche 26			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	33/36 (92)	19/20 (95)	Hedges` g
MW (SD)	12,78 (31,805)	22,18 (40,070)	-0,26 [-0,832; 0,302]
LS MW (SE)	12,51 (6,454)	22,64 (8,670)	LS MD
95 %-KI	-0,486; 25,513	5,178; 40,103	-10,13 [-32,598; 12,344] 0,3689
2			
n/N (%)	46/49 (94)	18/18 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-2,16 (58,503)	-2,63 (22,434)	0,01 [-0,536; 0,554]
LS MW (SE)	0,17 (5,933)	-8,57 (9,777)	LS MD
95 %-KI	-11,714; 12,049	-28,152; 11,003	8,74 [-14,782; 32,267] 0,4598
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	15/16 (94)	11/11 (100)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	7,92 (25,985)	10,00 (37,205)	-0,06 [-0,843; 0,713]
LS MW (SE)	13,53 (8,072)	2,35 (9,655)	LS MD
95 %-KI	-3,426; 30,490	-17,936; 22,632	11,18 [-17,193; 39,561] 0,4185
2			
n/N (%)	41/43 (95)	11/12 (92)	Hedges` g
MW (SD)	-4,74 (60,368)	15,07 (34,505)	-0,35 [-1,017; 0,322]
LS MW (SE)	-5,69 (7,707)	18,62 (15,037)	LS MD
95 %-KI	-21,225; 9,841	-11,685; 48,924	-24,31 [-58,570; 9,947] 0,1597
3			
n/N (%)	23/26 (88)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	17,30 (35,688)	6,56 (34,784)	0,30 [-0,357; 0,952]
LS MW (SE)	14,93 (7,535)	10,19 (9,514)	LS MD
95 %-KI	-0,461; 30,315	-9,236; 29,623	4,73 [-21,120; 30,588] 0,7111
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	38/42 (90)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-8,66 (61,151)	-4,50 (17,391)	-0,08 [-0,641; 0,481]
LS MW (SE)	-9,23 (5,746)	-3,31 (8,565)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-20,781; 2,325	-20,532; 13,911	-5,92 [-27,287; 15,452] 0,5802
2			
n/N (%)	41/43 (95)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	15,89 (31,791)	23,96 (41,174)	-0,23 [-0,773; 0,318]
LS MW (SE)	16,11 (5,561)	23,48 (8,284)	LS MD
95 %-KI	4,952; 27,269	6,860; 40,108	-7,37 [-27,725; 12,976] 0,4704
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	39/42 (93)	17/17 (100)	Hedges` g
MW (SD)	7,48 (28,015)	13,09 (35,986)	-0,18 [-0,752; 0,390]
LS MW (SE)	7,55 (4,671)	12,92 (7,246)	LS MD
95 %-KI	-1,840; 16,943	-1,647; 27,490	-5,37 [-23,139; 12,399] 0,5463
2			
n/N (%)	40/43 (93)	20/21 (95)	Hedges` g
MW (SD)	0,77 (64,043)	7,58 (34,142)	-0,12 [-0,657; 0,417]
LS MW (SE)	0,35 (7,699)	8,42 (11,096)	LS MD
95 %-KI	-15,101; 15,798	-13,848; 30,683	-8,07 [-35,840; 19,702] 0,5624
Änderung zu Woche 38			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	34/36 (94)	19/20 (95)	Hedges` g
MW (SD)	17,93 (53,052)	19,65 (39,125)	-0,03 [-0,596; 0,527]
LS MW (SE)	19,24 (8,815)	17,30 (12,027)	LS MD
95 %-KI	1,497; 36,986	-6,912; 41,508	1,94 [-29,016; 32,903] 0,9000
2			
n/N (%)	46/49 (94)	18/18 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,16 (59,511)	-0,96 (23,801)	0,02 [-0,524; 0,566]
LS MW (SE)	2,08 (5,702)	-5,88 (9,395)	LS MD
95 %-KI	-9,336; 13,499	-24,690; 12,936	7,96 [-14,647; 30,564] 0,4837
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	15/16 (94)	11/11 (100)	Hedges` g
MW (SD)	17,01 (21,597)	20,15 (34,125)	-0,11 [-0,889; 0,668]
LS MW (SE)	19,26 (7,649)	17,08 (9,150)	LS MD
95 %-KI	3,186; 35,327	-2,140; 36,307	2,17 [-24,720; 29,065] 0,8671
2			
n/N (%)	42/43 (98)	11/12 (92)	Hedges` g



PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	-2,30 (71,071)	12,47 (34,925)	-0,22 [-0,887; 0,443]
LS MW (SE)	-3,51 (8,779)	17,07 (17,309)	LS MD
95 %-KI	-21,191; 14,172	-17,794; 51,931	-20,58 [-59,865; 18,708] 0,2971
3			
n/N (%)	23/26 (88)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	19,93 (40,368)	-0,18 (32,202)	0,53 [-0,136; 1,189]
LS MW (SE)	18,03 (7,756)	2,74 (9,793)	LS MD
95 %-KI	2,189; 33,867	-17,262; 22,737	15,29 [-11,322; 41,903] 0,2499
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	38/42 (90)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-1,20 (68,277)	0,73 (23,752)	-0,03 [-0,594; 0,528]
LS MW (SE)	-2,40 (6,815)	3,25 (10,158)	LS MD
95 %-KI	-16,097; 11,307	-17,171; 23,677	-5,65 [-30,991; 19,695] 0,6561
2			
n/N (%)	42/43 (98)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	15,77 (44,224)	18,05 (39,965)	-0,05 [-0,594; 0,490]
LS MW (SE)	16,60 (6,910)	16,22 (10,425)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	2,739; 30,456	-4,689; 37,131	0,38 [-25,123; 25,875] 0,9765
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	39/42 (93)	17/17 (100)	Hedges` g
MW (SD)	18,66 (37,148)	10,74 (35,107)	0,21 [-0,358; 0,785]
LS MW (SE)	18,75 (5,439)	10,54 (8,438)	LS MD
95 %-KI	7,812; 29,685	-6,425; 27,506	8,21 [-12,485; 28,900] 0,4291
2			
n/N (%)	41/43 (95)	20/21 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-2,71 (70,153)	8,67 (33,522)	-0,18 [-0,720; 0,351]
LS MW (SE)	-3,78 (8,268)	10,86 (12,075)	LS MD
95 %-KI	-20,360; 12,807	-13,356; 35,082	-14,64 [-44,722; 15,444] 0,3335
Änderung zu Woche 52			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	34/36 (94)	19/20 (95)	Hedges` g
MW (SD)	14,86 (44,204)	12,86 (35,272)	0,05 [-0,514; 0,609]
LS MW (SE)	14,40 (7,387)	13,68 (10,078)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-0,468; 29,268	-6,603; 33,969	0,72 [-25,225; 26,658] 0,9559
2			
n/N (%)	47/49 (96)	18/18 (100)	Hedges` g
MW (SD)	1,08 (61,543)	4,23 (25,873)	-0,06 [-0,601; 0,486]
LS MW (SE)	2,91 (6,204)	-0,54 (10,323)	LS MD
95 %-KI	-9,513; 15,326	-21,206; 20,120	3,45 [-21,275; 28,173] 0,7810
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	15/16 (94)	11/11 (100)	Hedges` g
MW (SD)	17,39 (33,507)	15,12 (36,097)	0,06 [-0,715; 0,842]
LS MW (SE)	22,16 (8,889)	8,63 (10,633)	LS MD
95 %-KI	3,482; 40,832	-13,711; 30,965	13,53 [-17,721; 44,780] 0,3751
2			
n/N (%)	42/43 (98)	11/12 (92)	Hedges` g
MW (SD)	-1,00 (69,107)	18,63 (33,511)	-0,30 [-0,970; 0,363]
LS MW (SE)	-1,95 (8,552)	22,27 (16,862)	LS MD
95 %-KI	-19,173; 15,274	-11,694; 56,228	-24,22 [-62,487; 14,054] 0,2090
3			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
n/N (%)	24/26 (92)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	14,03 (33,259)	-3,38 (21,508)	0,58 [-0,078; 1,240]
LS MW (SE)	12,97 (5,971)	-1,68 (7,694)	LS MD
95 %-KI	0,792; 25,146	-17,370; 14,016	14,65 [-5,960; 35,251] 0,1572
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	39/42 (93)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-1,91 (65,787)	0,78 (23,383)	-0,05 [-0,606; 0,511]
LS MW (SE)	-3,55 (6,525)	4,33 (9,844)	LS MD
95 %-KI	-16,667; 9,560	-15,451; 24,112	-7,88 [-32,285; 16,516] 0,5192
2			
n/N (%)	42/43 (98)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	15,01 (41,964)	16,13 (35,737)	-0,03 [-0,569; 0,514]
LS MW (SE)	15,28 (6,327)	15,54 (9,546)	LS MD
95 %-KI	2,593; 27,972	-3,610; 34,682	-0,25 [-23,602; 23,094] 0,9827
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	39/42 (93)	17/17 (100)	Hedges` g
MW (SD)	14,83 (35,510)	3,24 (31,146)	0,33 [-0,240; 0,907]

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
LS MW (SE)	14,60 (5,787)	3,77 (8,976)	LS MD
95 %-KI	2,970; 26,239	-14,278; 21,819	10,83 [-11,179; 32,847] 0,3274
2			
n/N (%)	42/43 (98)	20/21 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,54 (68,032)	13,27 (30,795)	-0,23 [-0,766; 0,302]
LS MW (SE)	-0,86 (7,737)	13,94 (11,435)	LS MD
95 %-KI	-16,369; 14,656	-8,989; 36,862	-14,79 [-43,131; 13,545] 0,2999
<p><sup>a</sup>Die Veränderung der Punktwerte gegenüber Baseline plus 95 %-KI und p-Wert zu jedem spezifizierten Zeitpunkt wurden mit einer ANCOVA, stratifiziert nach Geschlecht, Alter, Gewicht und Größe zu Baseline und ERT-Status mit dem Baseline-Wert der jeweiligen Skala als Kovariate auf Basis der Mittelwerte der kleinsten Quadrate analysiert.durch die gepoolte Standardabweichung.</p> <p>ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; LS MD: Mittelwertdifferenz der kleinsten Quadrate; LS MW (SE): Mittelwert der kleinsten Quadrate (Standardfehler); MW (SD): Mittelwert (Standardabweichung); N: Patienten mit Baselinewert; n: Anzahl der Patienten mit Baselinewert in der Analyse</p>			

**35.7.1.04.04.1. Veränderung des QMT-Wertes - Proximale Muskelgruppe (in kg)****35.7.1.04.04.1. Veränderung des QMT-Wertes - Proximale Muskelgruppe (in kg): Interaktionstest**

<b>Veränderung des QMT-Wertes - Proximale Muskelgruppe (in kg): Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,0610
02	0,5119
03	0,1191
04	0,6836
05	0,6402
06	0,0712
07	0,2076
08	0,1820
09	0,8881
10	0,6406

*<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.*

*In dem Interaktionstest bei Subgruppe 09 ERT-Dauer wird die Variable ERT-Status aus dem Model entfernt, da es keine Dauer der ERT Behandlung für ERT naive Patienten gibt*

**35.7.1.04.04.1. Veränderung des QMT-Wertes - Proximale Muskelgruppe (in kg): Subgruppenanalyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>Veränderung des QMT-Wertes - Proximale Muskelgruppe (in kg)</b>			
Baseline-Werte			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	34/36 (94)	19/20 (95)	-
MW (SD)	102,23 (35,324)	106,96 (49,631)	
2			
n/N (%)	48/49 (98)	18/18 (100)	-
MW (SD)	78,60 (41,855)	64,68 (27,643)	
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	-
MW (SD)	76,44 (23,624)	76,94 (33,473)	
2			
n/N (%)	42/43 (98)	11/12 (92)	-
MW (SD)	93,23 (46,974)	104,12 (64,067)	
3			
n/N (%)	24/26 (92)	15/15 (100)	-
MW (SD)	87,91 (37,599)	80,32 (34,443)	
<b>07</b>			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
1			
n/N (%)	40/42 (95)	18/19 (95)	-
MW (SD)	73,68 (43,568)	72,02 (37,384)	
2			
n/N (%)	42/43 (98)	19/19 (100)	-
MW (SD)	102,41 (32,645)	100,00 (48,795)	
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	39/42 (93)	17/17 (100)	-
MW (SD)	79,29 (30,410)	69,36 (26,447)	
2			
n/N (%)	43/43 (100)	20/21 (95)	-
MW (SD)	96,66 (47,136)	100,86 (53,084)	
Änderung zu Woche 12			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	34/36 (94)	19/20 (95)	Hedges` g
MW (SD)	6,04 (17,294)	-5,02 (26,554)	0,52 [-0,053; 1,088]
LS MW (SE)	7,83 (3,673)	-8,22 (5,006)	LS MD
95 %-KI	0,436; 15,221	-18,301; 1,851	16,05 [3,184; 28,923] 0,0156
2			



PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
n/N (%)	48/49 (98)	18/18 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-3,50 (38,190)	1,47 (11,428)	-0,15 [-0,690; 0,395]
LS MW (SE)	-0,97 (3,329)	-5,28 (5,602)	LS MD
95 %-KI	-7,633; 5,692	-16,486; 5,933	4,31 [-9,065; 17,677] 0,5218
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges` g
MW (SD)	3,23 (15,300)	0,48 (19,451)	0,16 [-0,613; 0,925]
LS MW (SE)	4,95 (4,197)	-2,02 (5,224)	LS MD
95 %-KI	-3,838; 13,730	-12,951; 8,918	6,96 [-8,170; 22,096] 0,3476
2			
n/N (%)	42/43 (98)	11/12 (92)	Hedges` g
MW (SD)	-4,63 (39,904)	-7,57 (30,459)	0,08 [-0,588; 0,740]
LS MW (SE)	-5,57 (4,433)	-3,98 (8,743)	LS MD
95 %-KI	-14,495; 3,362	-21,587; 13,632	-1,59 [-21,436; 18,257] 0,8726
3			
n/N (%)	24/26 (92)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	7,50 (19,819)	0,60 (11,118)	0,40 [-0,256; 1,048]
LS MW (SE)	7,73 (3,314)	0,22 (4,269)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	0,973; 14,491	-8,483; 8,929	7,51 [-3,915; 18,933] 0,1898
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	40/42 (95)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-5,12 (39,316)	-0,54 (9,210)	-0,14 [-0,693; 0,421]
LS MW (SE)	-4,38 (3,162)	-2,19 (4,836)	LS MD
95 %-KI	-10,731; 1,972	-11,904; 7,523	-2,19 [-14,121; 9,744] 0,7142
2			
n/N (%)	42/43 (98)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	5,77 (20,669)	-3,12 (27,687)	0,38 [-0,166; 0,927]
LS MW (SE)	6,42 (3,675)	-4,56 (5,518)	LS MD
95 %-KI	-0,953; 13,788	-15,627; 6,510	10,98 [-2,471; 24,423] 0,1075
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	39/42 (93)	17/17 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,94 (14,905)	0,24 (13,764)	0,05 [-0,522; 0,617]
LS MW (SE)	1,75 (2,401)	-1,63 (3,734)	LS MD
95 %-KI	-3,074; 6,581	-9,138; 5,879	3,38 [-5,793; 12,558] 0,4622

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
2			
n/N (%)	43/43 (100)	20/21 (95)	Hedges` g
MW (SD)	0,01 (41,338)	-3,65 (25,268)	0,10 [-0,433; 0,628]
LS MW (SE)	0,60 (4,562)	-4,90 (6,827)	LS MD
95 %-KI	-8,548; 9,738	-18,579; 8,783	5,49 [-11,351; 22,336] 0,5161
Änderung zu Woche 26			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	33/36 (92)	19/20 (95)	Hedges` g
MW (SD)	5,28 (18,837)	6,22 (19,399)	-0,05 [-0,614; 0,516]
LS MW (SE)	5,36 (3,306)	6,07 (4,437)	LS MD
95 %-KI	-1,298; 12,020	-2,863; 15,011	-0,71 [-12,201; 10,774] 0,9010
2			
n/N (%)	47/49 (96)	18/18 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-2,03 (38,551)	0,75 (12,135)	-0,08 [-0,625; 0,462]
LS MW (SE)	0,64 (3,312)	-6,21 (5,521)	LS MD
95 %-KI	-5,994; 7,267	-17,261; 4,843	6,85 [-6,392; 20,083] 0,3049
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	2,58 (13,678)	3,75 (19,784)	-0,07 [-0,837; 0,699]
LS MW (SE)	4,31 (4,080)	1,22 (5,079)	LS MD
95 %-KI	-4,226; 12,854	-9,407; 11,855	3,09 [-11,623; 17,803] 0,6652
2			
n/N (%)	41/43 (95)	11/12 (92)	Hedges` g
MW (SD)	-4,63 (40,252)	5,16 (19,799)	-0,26 [-0,927; 0,408]
LS MW (SE)	-5,57 (4,526)	8,69 (8,832)	LS MD
95 %-KI	-14,696; 3,547	-9,110; 26,490	-14,26 [-34,388; 5,860] 0,1602
3			
n/N (%)	23/26 (88)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	9,88 (21,304)	2,25 (10,908)	0,42 [-0,243; 1,073]
LS MW (SE)	9,65 (3,906)	2,61 (4,929)	LS MD
95 %-KI	1,669; 17,625	-7,461; 12,672	7,04 [-6,339; 20,422] 0,2911
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	39/42 (93)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-5,97 (40,015)	-0,98 (11,549)	-0,15 [-0,704; 0,414]
LS MW (SE)	-5,23 (3,189)	-2,56 (4,822)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-11,642; 1,176	-12,255; 7,126	-2,67 [-14,643; 9,306] 0,6563
2			
n/N (%)	41/43 (95)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	7,60 (20,144)	7,86 (19,098)	-0,01 [-0,557; 0,531]
LS MW (SE)	7,75 (3,140)	7,52 (4,658)	LS MD
95 %-KI	1,450; 14,052	-1,823; 16,870	0,23 [-11,172; 11,628] 0,9682
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	39/42 (93)	17/17 (100)	Hedges` g
MW (SD)	2,53 (15,976)	1,83 (14,914)	0,04 [-0,525; 0,614]
LS MW (SE)	3,28 (2,570)	0,12 (3,997)	LS MD
95 %-KI	-1,890; 8,443	-7,917; 8,156	3,16 [-6,663; 12,977] 0,5211
2			
n/N (%)	41/43 (95)	20/21 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,49 (42,093)	5,03 (17,623)	-0,15 [-0,686; 0,384]
LS MW (SE)	-0,44 (4,668)	4,93 (6,815)	LS MD
95 %-KI	-9,800; 8,925	-8,739; 18,600	-5,37 [-22,342; 11,607] 0,5286
Änderung zu Woche 38			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	34/36 (94)	19/20 (95)	Hedges` g
MW (SD)	10,06 (30,448)	5,56 (24,802)	0,16 [-0,407; 0,718]
LS MW (SE)	10,79 (5,095)	4,26 (6,945)	LS MD
95 %-KI	0,533; 21,046	-9,722; 18,237	6,53 [-11,323; 24,387] 0,4652
2			
n/N (%)	47/49 (96)	18/18 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-2,08 (39,664)	1,20 (12,556)	-0,09 [-0,637; 0,450]
LS MW (SE)	0,50 (3,159)	-5,54 (5,266)	LS MD
95 %-KI	-5,820; 6,829	-16,082; 5,001	6,04 [-6,582; 18,671] 0,3419
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges` g
MW (SD)	8,48 (14,273)	10,62 (21,676)	-0,12 [-0,887; 0,650]
LS MW (SE)	8,70 (4,361)	10,29 (5,428)	LS MD
95 %-KI	-0,425; 17,829	-1,067; 21,656	-1,59 [-17,316; 14,132] 0,8344
2			
n/N (%)	42/43 (98)	11/12 (92)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	-3,05 (47,073)	1,99 (22,373)	-0,11 [-0,779; 0,550]
LS MW (SE)	-4,14 (5,033)	6,16 (9,927)	LS MD
95 %-KI	-14,281; 5,992	-13,835; 26,152	-10,30 [-32,835; 12,230] 0,3620
<b>3</b>			
n/N (%)	23/26 (88)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	10,31 (19,907)	-0,77 (15,509)	0,59 [-0,074; 1,257]
LS MW (SE)	10,15 (4,096)	-0,52 (5,168)	LS MD
95 %-KI	1,782; 18,512	-11,076; 10,034	10,67 [-3,362; 24,698] 0,1309
<b>07</b>			
<b>1</b>			
n/N (%)	39/42 (93)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-2,14 (44,702)	1,94 (16,556)	-0,11 [-0,664; 0,454]
LS MW (SE)	-1,38 (4,095)	0,28 (6,191)	LS MD
95 %-KI	-9,605; 6,852	-12,164; 12,717	-1,65 [-17,026; 13,720] 0,8298
<b>2</b>			
n/N (%)	42/43 (98)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	7,81 (26,103)	4,86 (22,594)	0,12 [-0,426; 0,658]
LS MW (SE)	8,39 (3,924)	3,59 (5,893)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	0,515; 16,256	-8,229; 15,411	4,79 [-9,566; 19,155] 0,5060
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	39/42 (93)	17/17 (100)	Hedges` g
MW (SD)	8,56 (19,767)	1,98 (16,742)	0,34 [-0,230; 0,917]
LS MW (SE)	9,06 (2,878)	0,85 (4,477)	LS MD
95 %-KI	3,268; 14,843	-8,152; 9,850	8,21 [-2,793; 19,206] 0,1401
2			
n/N (%)	42/43 (98)	20/21 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-2,13 (46,516)	4,68 (22,214)	-0,17 [-0,700; 0,367]
LS MW (SE)	-2,10 (5,127)	4,62 (7,582)	LS MD
95 %-KI	-12,381; 8,178	-10,583; 19,821	-6,72 [-25,522; 12,081] 0,4767
Änderung zu Woche 52			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	34/36 (94)	19/20 (95)	Hedges` g
MW (SD)	7,58 (25,391)	4,09 (22,352)	0,14 [-0,421; 0,703]
LS MW (SE)	7,42 (4,297)	4,38 (5,856)	LS MD



PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-1,226; 16,071	-7,411; 16,165	3,05 [-12,011; 18,102] 0,6858
2			
n/N (%)	48/49 (98)	18/18 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-1,49 (39,711)	3,98 (15,239)	-0,15 [-0,697; 0,388]
LS MW (SE)	0,82 (3,330)	-2,18 (5,602)	LS MD
95 %-KI	-5,845; 7,480	-13,394; 9,027	3,00 [-10,371; 16,373] 0,6550
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges` g
MW (SD)	7,42 (20,308)	7,68 (21,553)	-0,01 [-0,780; 0,756]
LS MW (SE)	9,40 (5,110)	4,81 (6,362)	LS MD
95 %-KI	-1,301; 20,091	-8,503; 18,127	4,58 [-13,844; 23,011] 0,6087
2			
n/N (%)	42/43 (98)	11/12 (92)	Hedges` g
MW (SD)	-3,76 (44,839)	8,66 (19,369)	-0,30 [-0,964; 0,369]
LS MW (SE)	-4,78 (4,642)	12,57 (9,156)	LS MD
95 %-KI	-14,129; 4,571	-5,875; 31,007	-17,35 [-38,129; 3,438] 0,0997
3			

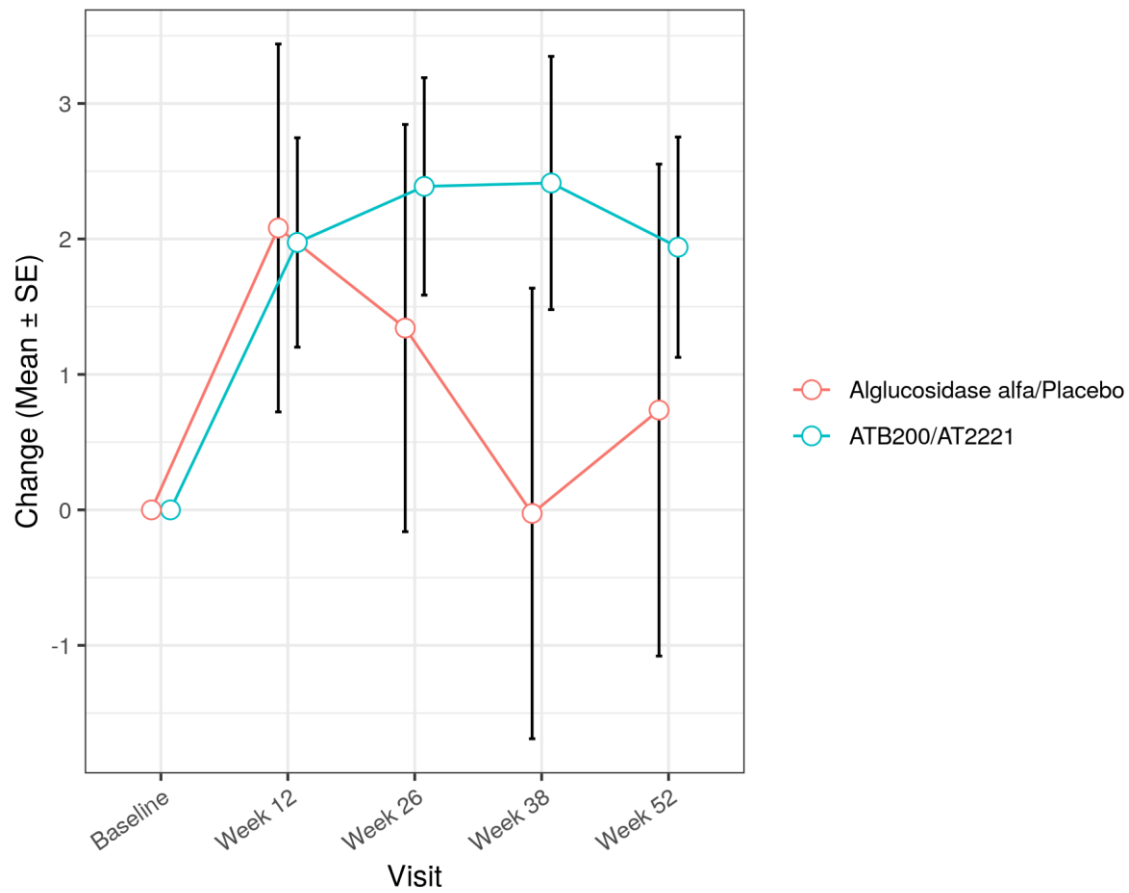
PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Algluco- sidade alfa/Placebo	
N	85	38	-
n/N (%)	24/26 (92)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	9,38 (15,109)	-2,03 (16,059)	0,72 [0,056; 1,390]
LS MW (SE)	9,62 (3,308)	-2,42 (4,261)	LS MD
95 %-KI	2,878; 16,372	-11,110; 6,271	12,04 [0,641; 23,448] 0,0391
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	40/42 (95)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-1,05 (43,981)	1,70 (15,295)	-0,07 [-0,629; 0,484]
LS MW (SE)	-0,51 (4,079)	0,51 (6,238)	LS MD
95 %-KI	-8,702; 7,683	-12,019; 13,039	-1,02 [-16,411; 14,372] 0,8947
2			
n/N (%)	42/43 (98)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	5,43 (22,486)	6,24 (22,077)	-0,04 [-0,578; 0,506]
LS MW (SE)	5,87 (3,446)	5,27 (5,175)	LS MD
95 %-KI	-1,044; 12,781	-5,108; 15,653	0,60 [-12,016; 13,207] 0,9249
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	39/42 (93)	17/17 (100)	Hedges` g
MW (SD)	7,09 (19,638)	-1,07 (20,240)	0,41 [-0,169; 0,981]

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
LS MW (SE)	7,79 (3,376)	-2,67 (5,252)	LS MD
95 %-KI	1,004; 14,582	-13,228; 7,891	10,46 [-2,442; 23,365] 0,1096
2			
n/N (%)	43/43 (100)	20/21 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-2,10 (43,819)	8,37 (17,120)	-0,28 [-0,808; 0,258]
LS MW (SE)	-1,97 (4,339)	8,09 (6,492)	LS MD
95 %-KI	-10,670; 6,720	-4,920; 21,100	-10,06 [-26,082; 5,953] 0,2133
<p><sup>a</sup>Die Veränderung der Punktwerte gegenüber Baseline plus 95 %-KI und p-Wert zu jedem spezifizierten Zeitpunkt wurden mit einer ANCOVA, stratifiziert nach Geschlecht, Alter, Gewicht und Größe zu Baseline und ERT-Status mit dem Baseline-Wert der jeweiligen Skala als Kovariate auf Basis der Mittelwerte der kleinsten Quadrate analysiert.durch die gepoolte Standardabweichung.</p> <p>ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; LS MD: Mittelwertdifferenz der kleinsten Quadrate; LS MW (SE): Mittelwert der kleinsten Quadrate (Standardfehler); MW (SD): Mittelwert (Standardabweichung); N: Patienten mit Baselinewert; n: Anzahl der Patienten mit Baselinewert in der Analyse</p>			

**Patient-Reported Outcomes Measurement Information System (PROMIS)****35.7.1.05.****35.7.1.05.01.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Körperliche Funktion (20a)****35.7.1.05.01.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Körperliche Funktion (20a): Analyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglicosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>Veränderung des PROMIS-Wertes Körperliche Funktion (20a)</b>			
<b>Baseline</b>			
n/N (%)	84/85 (99)	38/38 (100)	-
MW (SD)	66,86 (12,261)	68,21 (12,995)	
<b>Änderung zu Woche 12</b>			
n/N (%)	81/85 (95)	37/38 (97)	Hedges` g -0,01 [-0,403; 0,375] 0,9433
MW (SD)	1,97 (7,124)	2,08 (8,371)	
LS MW (SE)	2,03 (0,803)	1,96 (1,203)	LS MD 0,07 [-2,838; 2,977] 0,9623
95 %-KI	0,438; 3,621	-0,425; 4,344	
<b>Änderung zu Woche 26</b>			
n/N (%)	84/85 (99)	38/38 (100)	Hedges` g 0,13 [-0,254; 0,513] 0,5078
MW (SD)	2,39 (7,398)	1,34 (9,266)	
LS MW (SE)	2,47 (0,845)	1,16 (1,273)	LS MD 1,31 [-1,759; 4,384] 0,3991
95 %-KI	0,797; 4,145	-1,363; 3,680	
<b>Änderung zu Woche 38</b>			
n/N (%)	84/85 (99)	38/38 (100)	Hedges` g 0,26 [-0,120; 0,650] 0,1772
MW (SD)	2,41 (8,618)	-0,03 (10,252)	

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
LS MW (SE)	2,50 (0,965)	-0,23 (1,453)	LS MD 2,73 [-0,772; 6,240] 0,1251
95 %-KI	0,594; 4,416	-3,108; 2,649	
<b>Änderung zu Woche 52</b>			
n/N (%)	84/85 (99)	38/38 (100)	Hedges` g 0,14 [-0,248; 0,519] 0,4880
MW (SD)	1,94 (7,498)	0,74 (11,193)	
LS MW (SE)	1,99 (0,934)	0,62 (1,408)	LS MD 1,37 [-2,026; 4,766] 0,4258
95 %-KI	0,141; 3,843	-2,167; 3,410	
<p><sup>a</sup>Die Veränderung der Punktwerte gegenüber Baseline plus 95 %-KI und p-Wert zu jedem spezifizierten Zeitpunkt wurden mit einer ANCOVA, stratifiziert nach Geschlecht, Alter, Gewicht und Größe zu Baseline und ERT-Status mit dem Baseline-Wert der jeweiligen Skala als Kovariate auf Basis der Mittelwerte der kleinsten Quadrate analysiert. Das Effektmaß Hedges` g ist die Differenz der Mittelwerte geteilt durch die gepoolte Standardabweichung.</p> <p>ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; LS MD: Mittelwertdifferenz der kleinsten Quadrate; LS MW (SE): Mittelwert der kleinsten Quadrate (Standardfehler); MW (SD): Mittelwert (Standardabweichung); N: Patienten mit Baselinewert; n: Anzahl der Patienten mit Baselinewert in der Analyse</p>			

**35.7.1.05.01.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Körperliche Funktion (20a)  
Mittelwertveränderungsplot****35.7.1.05.01**

**35.7.1.05.01.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Körperliche Funktion (20a): Interaktionstest**

<b>Veränderung des PROMIS-Wertes Körperliche Funktion (20a): Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,0039
02	< 0,0001
03	0,0007
04	0,0886
05	0,0077
06	0,0296
07	0,7673
08	0,0069
09	0,0211
10	< 0,0001
<p><i><sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i></p> <p><i>In dem Interaktionstest bei Subgruppe 09 ERT-Dauer wird die Variable ERT-Status aus dem Model entfernt, da es keine Dauer der ERT Behandlung für ERT naïve Patienten gibt</i></p>	

**35.7.1.05.01.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Körperliche Funktion (20a): Subgruppenanalyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>Veränderung des PROMIS-Wertes Körperliche Funktion (20a)</b>			
Baseline-Werte			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	36/36 (100)	20/20 (100)	-
MW (SD)	70,65 (12,841)	64,85 (12,145)	
2			
n/N (%)	48/49 (98)	18/18 (100)	-
MW (SD)	64,02 (11,112)	71,94 (13,215)	
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	-
MW (SD)	67,31 (6,925)	67,45 (6,154)	
2			
n/N (%)	42/43 (98)	12/12 (100)	-
MW (SD)	65,84 (12,404)	68,67 (18,386)	
3			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	-
MW (SD)	68,23 (14,635)	68,40 (12,368)	
<b>07</b>			



PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
1			
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	-
MW (SD)	62,03 (10,261)	62,84 (9,142)	
2			
n/N (%)	42/43 (98)	19/19 (100)	-
MW (SD)	71,69 (12,300)	73,58 (14,237)	
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	-
MW (SD)	63,12 (11,996)	64,71 (8,244)	
2			
n/N (%)	42/43 (98)	21/21 (100)	-
MW (SD)	70,60 (11,477)	71,05 (15,464)	
Änderung zu Woche 12			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	36/36 (100)	19/20 (95)	Hedges` g
MW (SD)	1,16 (5,380)	3,53 (9,941)	-0,32 [-0,880; 0,238]
LS MW (SE)	1,46 (1,149)	2,96 (1,620)	LS MD
95 %-KI	-0,849; 3,772	-0,294; 6,220	-1,50 [-5,631; 2,627] 0,4680
2			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
n/N (%)	45/49 (92)	18/18 (100)	Hedges` g
MW (SD)	2,62 (8,264)	0,56 (6,242)	0,26 [-0,285; 0,812]
LS MW (SE)	2,23 (1,185)	1,53 (1,970)	LS MD
95 %-KI	-0,141; 4,605	-2,415; 5,477	0,70 [-4,114; 5,516] 0,7716
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	15/16 (94)	11/11 (100)	Hedges` g
MW (SD)	4,93 (8,371)	1,64 (12,396)	0,31 [-0,472; 1,095]
LS MW (SE)	5,44 (2,521)	0,95 (2,998)	LS MD
95 %-KI	0,145; 10,736	-5,353; 7,243	4,50 [-4,197; 13,187] 0,2916
2			
n/N (%)	40/43 (93)	11/12 (92)	Hedges` g
MW (SD)	2,05 (7,418)	-0,73 (5,061)	0,39 [-0,282; 1,062]
LS MW (SE)	2,07 (1,077)	-0,82 (2,072)	LS MD
95 %-KI	-0,100; 4,243	-4,995; 3,364	2,89 [-1,848; 7,623] 0,2255
3			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,15 (5,349)	4,47 (6,300)	-0,74 [-1,398; -0,083]
LS MW (SE)	0,35 (1,015)	4,13 (1,360)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-1,718; 2,410	1,367; 6,901	-3,79 [-7,345; -0,231] 0,0376
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	40/42 (95)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	0,26 (6,946)	1,56 (8,746)	-0,17 [-0,726; 0,388]
LS MW (SE)	0,31 (1,161)	1,46 (1,775)	LS MD
95 %-KI	-2,023; 2,640	-2,106; 5,024	-1,15 [-5,530; 3,229] 0,6000
2			
n/N (%)	41/43 (95)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	3,64 (6,978)	2,58 (8,208)	0,14 [-0,403; 0,687]
LS MW (SE)	3,52 (1,103)	2,83 (1,631)	LS MD
95 %-KI	1,312; 5,736	-0,441; 6,106	0,69 [-3,292; 4,675] 0,7290
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	41/42 (98)	17/17 (100)	Hedges` g
MW (SD)	1,02 (5,952)	1,12 (7,639)	-0,01 [-0,580; 0,551]
LS MW (SE)	0,98 (0,951)	1,22 (1,495)	LS MD
95 %-KI	-0,927; 2,893	-1,785; 4,220	-0,23 [-3,836; 3,367] 0,8964

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
2			
n/N (%)	40/43 (93)	20/21 (95)	Hedges` g
MW (SD)	2,95 (8,115)	2,90 (9,061)	0,01 [-0,531; 0,542]
LS MW (SE)	3,02 (1,277)	2,75 (1,835)	LS MD
95 %-KI	0,457; 5,583	-0,927; 6,437	0,27 [-4,314; 4,844] 0,9079
Änderung zu Woche 26			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	36/36 (100)	20/20 (100)	Hedges` g
MW (SD)	1,21 (7,257)	1,40 (10,195)	-0,02 [-0,569; 0,524]
LS MW (SE)	1,67 (1,339)	0,58 (1,843)	LS MD
95 %-KI	-1,023; 4,359	-3,126; 4,281	1,09 [-3,669; 5,850] 0,6472
2			
n/N (%)	48/49 (98)	18/18 (100)	Hedges` g
MW (SD)	3,27 (7,454)	1,28 (8,407)	0,26 [-0,288; 0,799]
LS MW (SE)	3,08 (1,149)	1,78 (1,971)	LS MD
95 %-KI	0,783; 5,381	-2,163; 5,726	1,30 [-3,454; 6,055] 0,5862
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	5,06 (7,594)	1,18 (12,560)	0,38 [-0,395; 1,156]
LS MW (SE)	5,49 (2,082)	0,56 (2,569)	LS MD
95 %-KI	1,131; 9,845	-4,814; 5,939	4,93 [-2,395; 12,246] 0,1752
2			
n/N (%)	42/43 (98)	12/12 (100)	Hedges` g
MW (SD)	1,49 (8,021)	-1,25 (4,751)	0,36 [-0,283; 1,008]
LS MW (SE)	1,56 (1,166)	-1,49 (2,195)	LS MD
95 %-KI	-0,788; 3,906	-5,907; 2,928	3,05 [-1,973; 8,069] 0,2279
3			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	2,19 (5,967)	3,53 (9,249)	-0,18 [-0,817; 0,457]
LS MW (SE)	2,63 (1,322)	2,77 (1,773)	LS MD
95 %-KI	-0,058; 5,322	-0,835; 6,377	-0,14 [-4,776; 4,497] 0,9517
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	1,40 (6,289)	0,21 (10,009)	0,15 [-0,389; 0,696]
LS MW (SE)	1,60 (1,144)	-0,23 (1,743)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-0,699; 3,892	-3,731; 3,262	1,83 [-2,466; 6,128] 0,3965
2			
n/N (%)	42/43 (98)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	3,38 (8,320)	2,47 (8,579)	0,11 [-0,436; 0,649]
LS MW (SE)	3,21 (1,242)	2,85 (1,861)	LS MD
95 %-KI	0,720; 5,701	-0,883; 6,583	0,36 [-4,167; 4,888] 0,8736
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	Hedges` g
MW (SD)	2,88 (5,894)	-0,71 (8,809)	0,52 [-0,054; 1,089]
LS MW (SE)	2,84 (1,043)	-0,62 (1,661)	LS MD
95 %-KI	0,750; 4,938	-3,949; 2,719	3,46 [-0,526; 7,444] 0,0874
2			
n/N (%)	42/43 (98)	21/21 (100)	Hedges` g
MW (SD)	1,90 (8,692)	3,00 (9,503)	-0,12 [-0,646; 0,403]
LS MW (SE)	2,01 (1,350)	2,77 (1,942)	LS MD
95 %-KI	-0,698; 4,714	-1,117; 6,667	-0,77 [-5,612; 4,078] 0,7522
Änderung zu Woche 38			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	36/36 (100)	20/20 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,41 (8,860)	1,00 (9,958)	-0,06 [-0,609; 0,484]
LS MW (SE)	0,99 (1,427)	-0,05 (1,964)	LS MD
95 %-KI	-1,874; 3,863	-3,992; 3,902	1,04 [-4,033; 6,112] 0,6823
2			
n/N (%)	48/49 (98)	18/18 (100)	Hedges` g
MW (SD)	3,91 (8,206)	-1,17 (10,739)	0,56 [0,010; 1,112]
LS MW (SE)	3,55 (1,328)	-0,20 (2,279)	LS MD
95 %-KI	0,891; 6,207	-4,759; 4,363	3,75 [-1,751; 9,244] 0,1778
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges` g
MW (SD)	4,75 (7,861)	-0,91 (14,314)	0,50 [-0,278; 1,284]
LS MW (SE)	5,79 (2,667)	-2,43 (3,291)	LS MD
95 %-KI	0,212; 11,376	-9,316; 4,461	8,22 [-1,158; 17,600] 0,0823
2			
n/N (%)	42/43 (98)	12/12 (100)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	1,78 (9,829)	-2,42 (6,788)	0,45 [-0,201; 1,094]
LS MW (SE)	1,83 (1,321)	-2,60 (2,487)	LS MD
95 %-KI	-0,827; 4,492	-7,603; 2,409	4,43 [-1,260; 10,119] 0,1240
3			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	2,00 (6,835)	2,53 (9,094)	-0,07 [-0,704; 0,567]
LS MW (SE)	2,30 (1,545)	2,01 (2,071)	LS MD
95 %-KI	-0,846; 5,441	-2,203; 6,225	0,29 [-5,131; 5,705] 0,9149
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	1,33 (6,516)	-1,68 (11,648)	0,35 [-0,193; 0,899]
LS MW (SE)	1,54 (1,239)	-2,15 (1,888)	LS MD
95 %-KI	-0,949; 4,020	-5,933; 1,639	3,68 [-0,969; 8,335] 0,1183
2			
n/N (%)	42/43 (98)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	3,50 (10,270)	1,63 (8,636)	0,19 [-0,355; 0,731]
LS MW (SE)	3,31 (1,444)	2,05 (2,164)	LS MD



PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	0,417; 6,209	-2,295; 6,386	1,27 [-3,997; 6,532] 0,6312
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	Hedges` g
MW (SD)	3,71 (6,871)	-2,65 (9,526)	0,81 [0,230; 1,397]
LS MW (SE)	3,66 (1,239)	-2,52 (1,973)	LS MD
95 %-KI	1,171; 6,147	-6,483; 1,440	6,18 [1,445; 10,916] 0,0116
2			
n/N (%)	42/43 (98)	21/21 (100)	Hedges` g
MW (SD)	1,12 (9,984)	2,10 (10,549)	-0,10 [-0,619; 0,429]
LS MW (SE)	1,36 (1,446)	1,61 (2,079)	LS MD
95 %-KI	-1,540; 4,255	-2,553; 5,781	-0,26 [-5,444; 4,930] 0,9212
Änderung zu Woche 52			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	36/36 (100)	20/20 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,77 (6,236)	1,45 (12,767)	-0,07 [-0,620; 0,474]
LS MW (SE)	1,18 (1,490)	0,73 (2,051)	LS MD

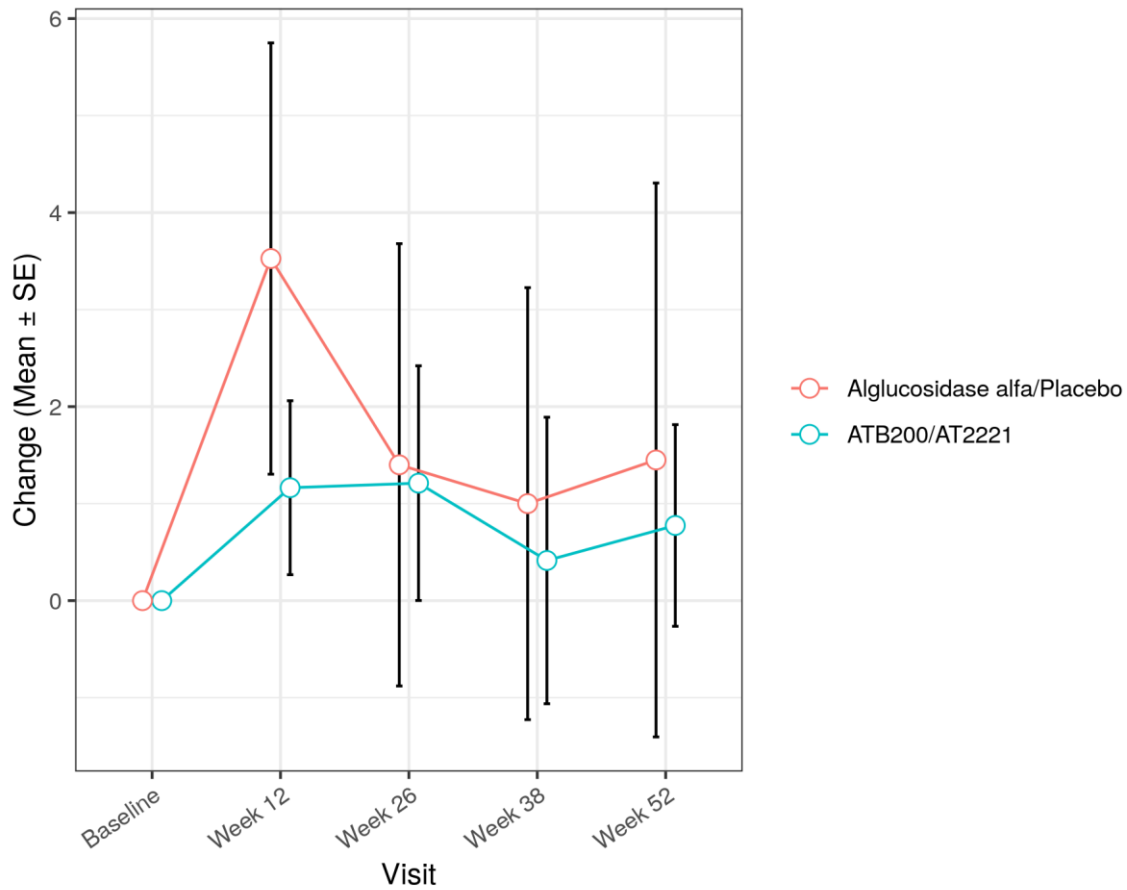
PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-1,819; 4,170	-3,392; 4,849	0,45 [-4,849; 5,743] 0,8659
2			
n/N (%)	48/49 (98)	18/18 (100)	Hedges` g
MW (SD)	2,81 (8,276)	-0,06 (9,446)	0,33 [-0,215; 0,874]
LS MW (SE)	2,54 (1,282)	0,66 (2,199)	LS MD
95 %-KI	-0,021; 5,108	-3,739; 5,062	1,88 [-3,423; 7,186] 0,4806
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges` g
MW (SD)	5,25 (9,103)	0,73 (15,869)	0,36 [-0,417; 1,132]
LS MW (SE)	6,04 (2,658)	-0,42 (3,280)	LS MD
95 %-KI	0,475; 11,602	-7,285; 6,447	6,46 [-2,891; 15,806] 0,1646
2			
n/N (%)	42/43 (98)	12/12 (100)	Hedges` g
MW (SD)	1,35 (8,059)	-2,08 (8,959)	0,41 [-0,236; 1,057]
LS MW (SE)	1,44 (1,261)	-2,37 (2,374)	LS MD
95 %-KI	-1,102; 3,975	-7,148; 2,409	3,81 [-1,625; 9,237] 0,1651
3			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,85 (4,645)	3,00 (8,710)	-0,33 [-0,970; 0,310]
LS MW (SE)	1,14 (1,254)	2,50 (1,681)	LS MD
95 %-KI	-1,415; 3,687	-0,922; 5,918	-1,36 [-5,759; 3,035] 0,5330
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	1,02 (6,786)	0,26 (12,565)	0,08 [-0,458; 0,626]
LS MW (SE)	1,20 (1,308)	-0,13 (1,993)	LS MD
95 %-KI	-1,427; 3,822	-4,125; 3,872	1,32 [-3,589; 6,237] 0,5911
2			
n/N (%)	42/43 (98)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	2,86 (8,126)	1,21 (9,959)	0,19 [-0,357; 0,729]
LS MW (SE)	2,68 (1,338)	1,61 (2,005)	LS MD
95 %-KI	-0,008; 5,358	-2,408; 5,633	1,06 [-3,814; 5,940] 0,6638
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	Hedges` g
MW (SD)	2,38 (6,622)	-2,82 (11,221)	0,63 [0,052; 1,203]

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
LS MW (SE)	2,23 (1,259)	-2,45 (2,004)	LS MD
95 %-KI	-0,298; 4,757	-6,474; 1,574	4,68 [-0,130; 9,491] 0,0563
2			
n/N (%)	42/43 (98)	21/21 (100)	Hedges` g
MW (SD)	1,50 (8,339)	3,62 (10,562)	-0,23 [-0,755; 0,296]
LS MW (SE)	1,65 (1,334)	3,32 (1,918)	LS MD
95 %-KI	-1,028; 4,318	-0,519; 7,168	-1,68 [-6,464; 3,105] 0,4848
<p><sup>a</sup>Die Veränderung der Punktwerte gegenüber Baseline plus 95 %-KI und p-Wert zu jedem spezifizierten Zeitpunkt wurden mit einer ANCOVA, stratifiziert nach Geschlecht, Alter, Gewicht und Größe zu Baseline und ERT-Status mit dem Baseline-Wert der jeweiligen Skala als Kovariate auf Basis der Mittelwerte der kleinsten Quadrate analysiert.durch die gepoolte Standardabweichung.</p> <p>ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; LS MD: Mittelwertdifferenz der kleinsten Quadrate; LS MW (SE): Mittelwert der kleinsten Quadrate (Standardfehler); MW (SD): Mittelwert (Standardabweichung); N: Patienten mit Baselinewert; n: Anzahl der Patienten mit Baselinewert in der Analyse</p>			

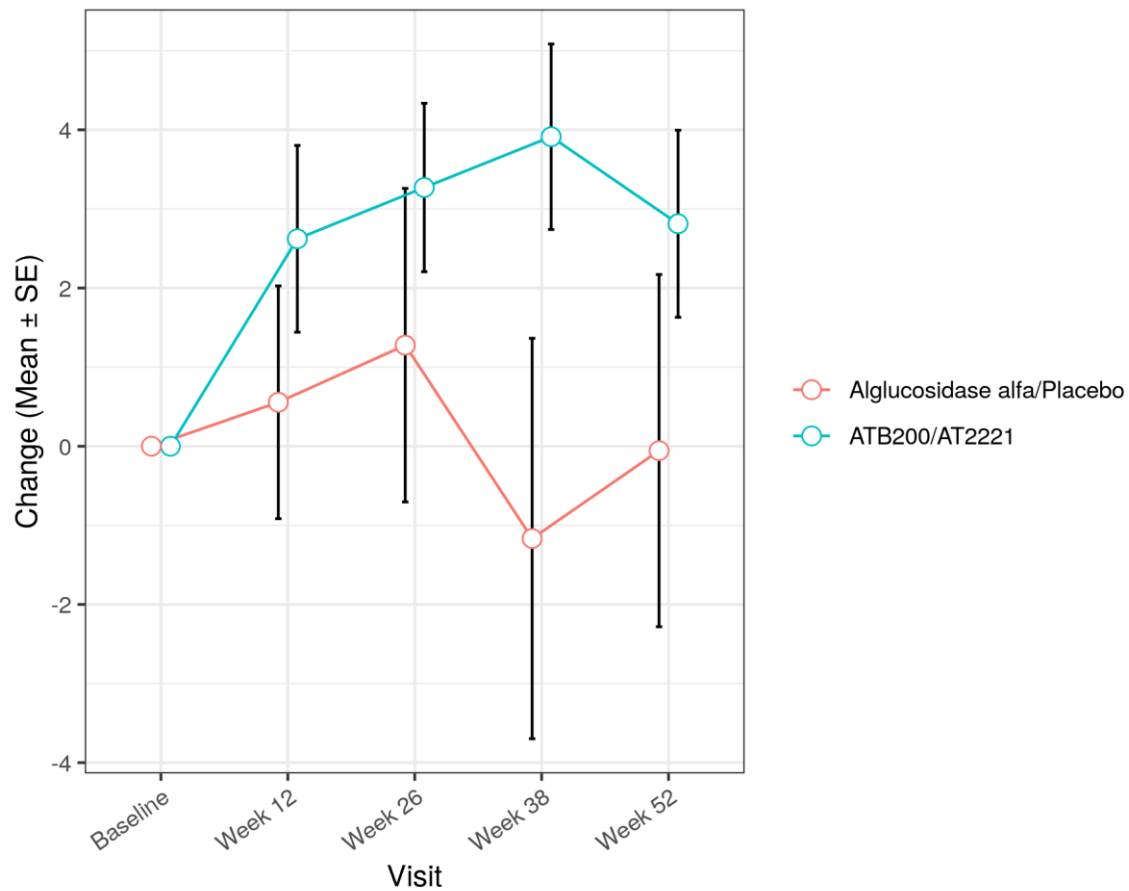
**35.7.1.05.01.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Körperliche Funktion (20a): Mittelwertveränderungsplots der Subgruppen****35.7.1.05.01.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Körperliche Funktion (20a) Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 01\_1**

35.7.1.05.01 01\_1



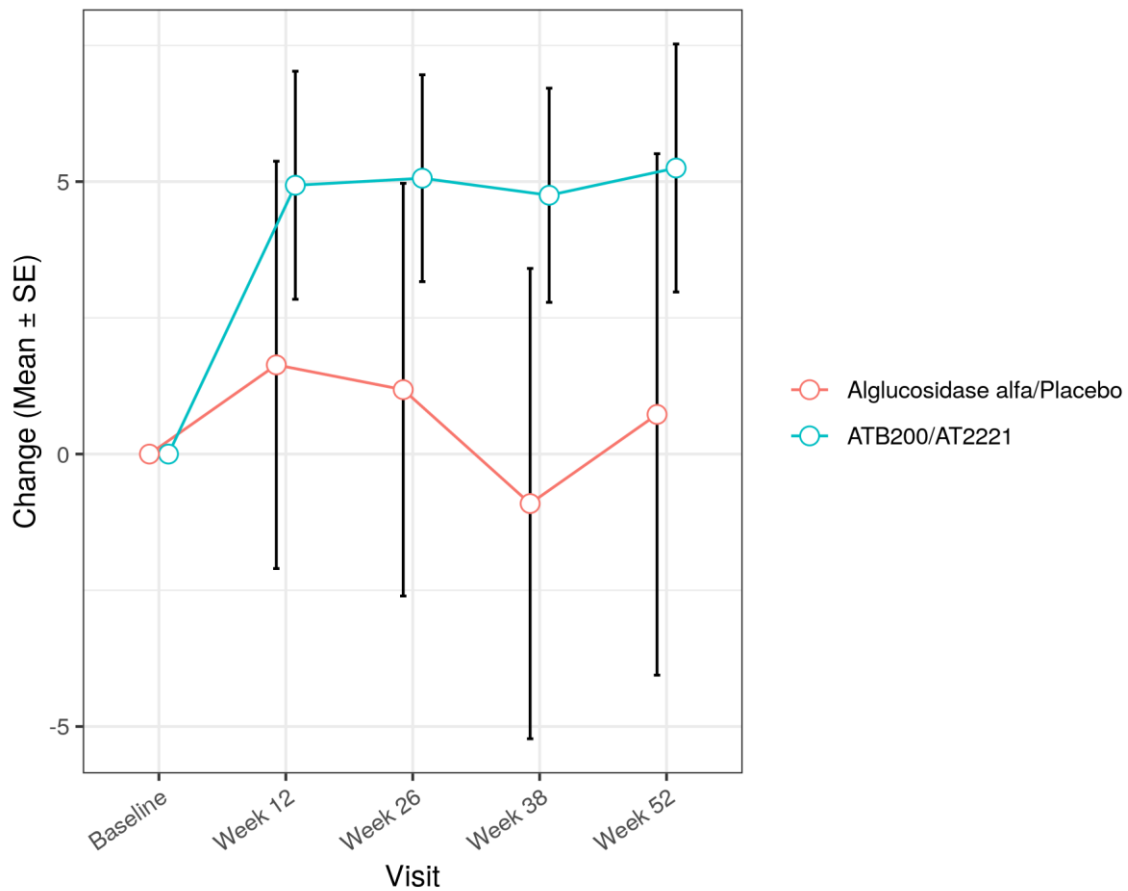
**35.7.1.05.01.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Körperliche Funktion (20a)  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 01\_2**

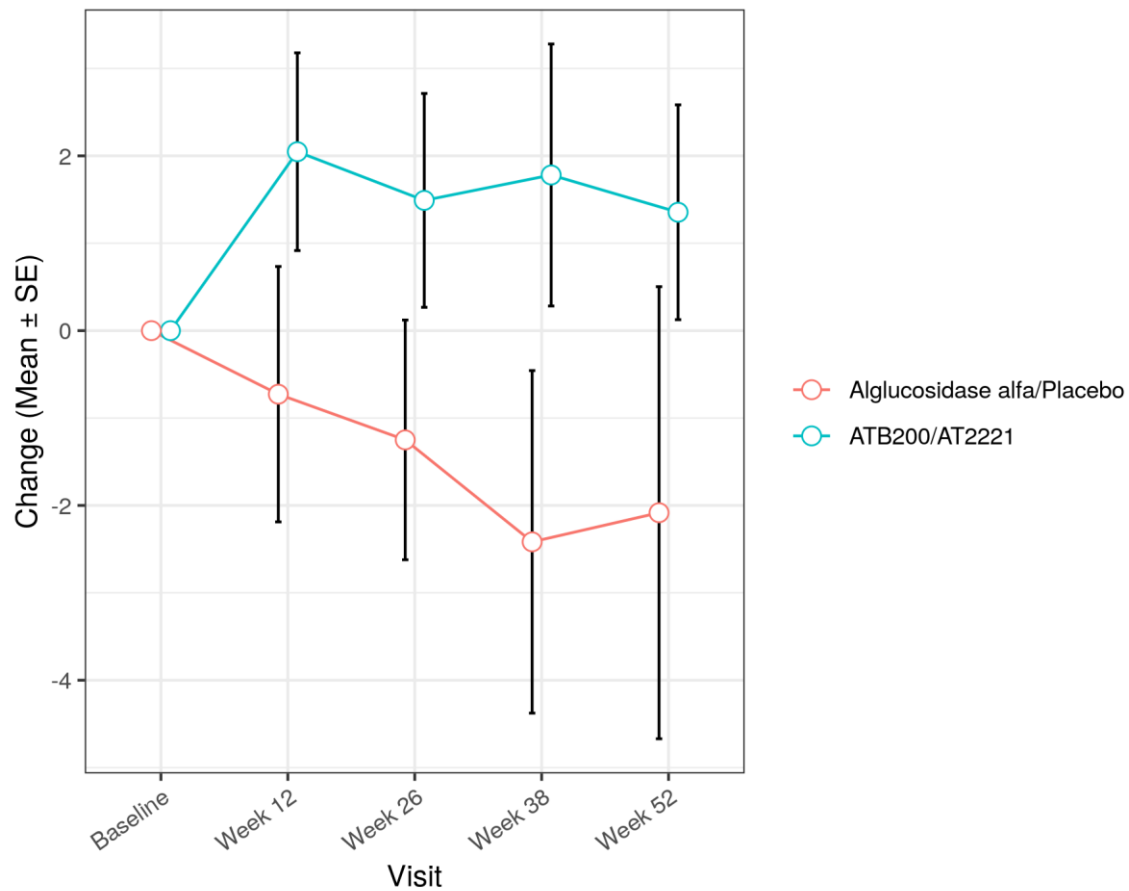
35.7.1.05.01 01\_2



**35.7.1.05.01.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Körperliche Funktion (20a)  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 03\_1**

35.7.1.05.01 03\_1

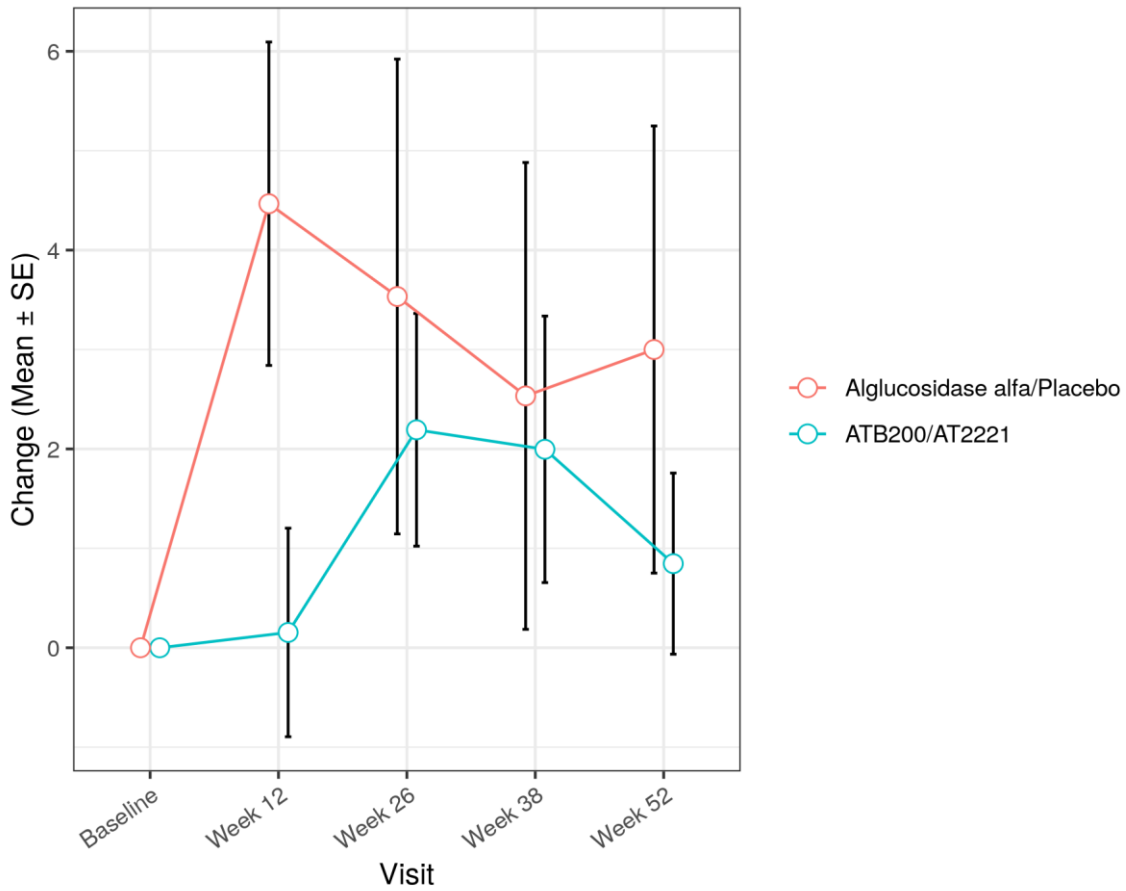


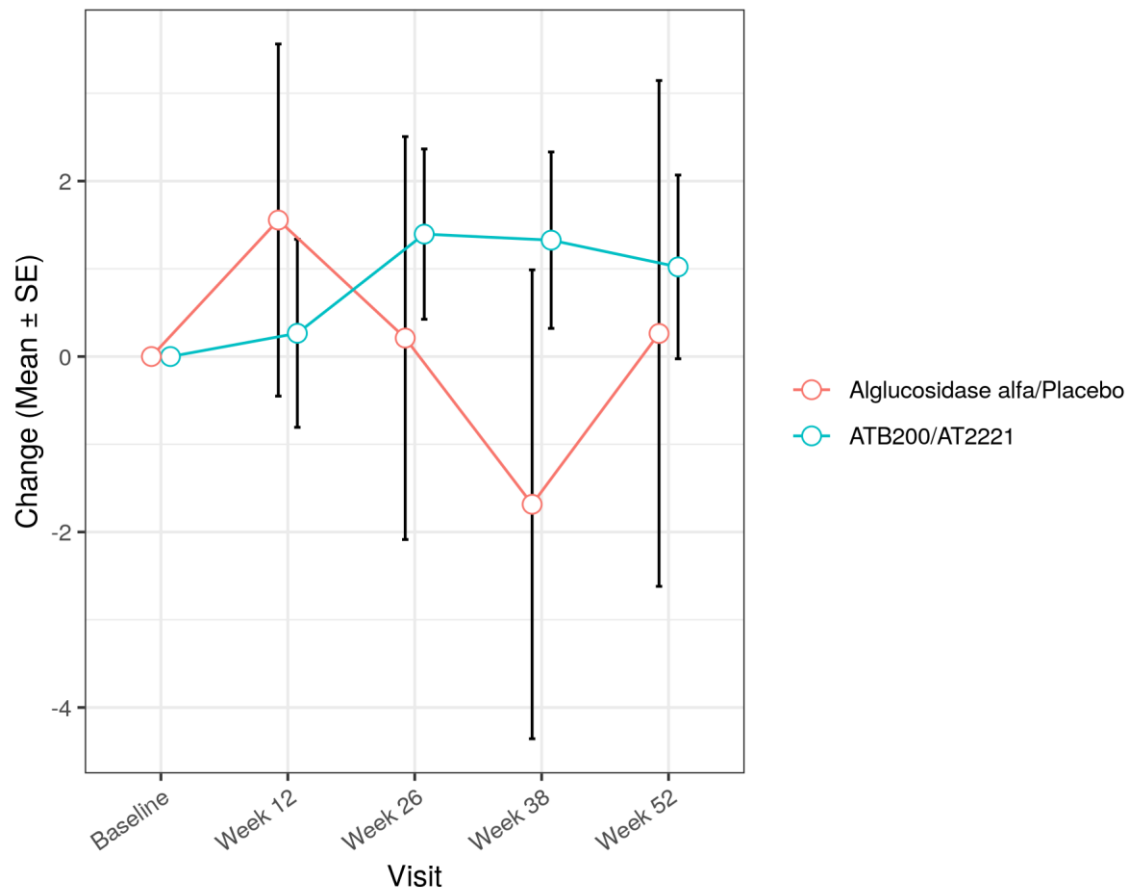
**35.7.1.05.01.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Körperliche Funktion (20a)  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 03\_2****35.7.1.05.01 03\_2**



**35.7.1.05.01.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Körperliche Funktion (20a)  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 03\_3**

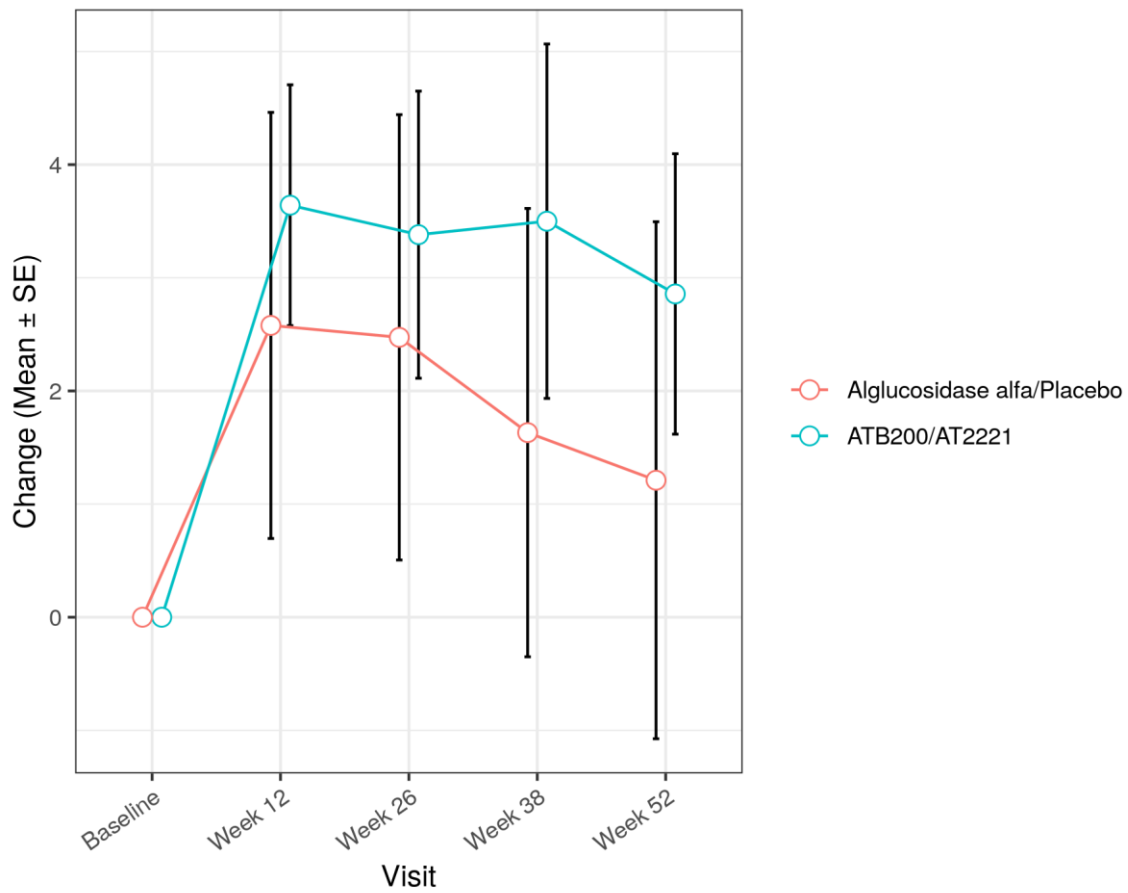
35.7.1.05.01 03\_3



**35.7.1.05.01.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Körperliche Funktion (20a)  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 07\_1****35.7.1.05.01 07\_1**

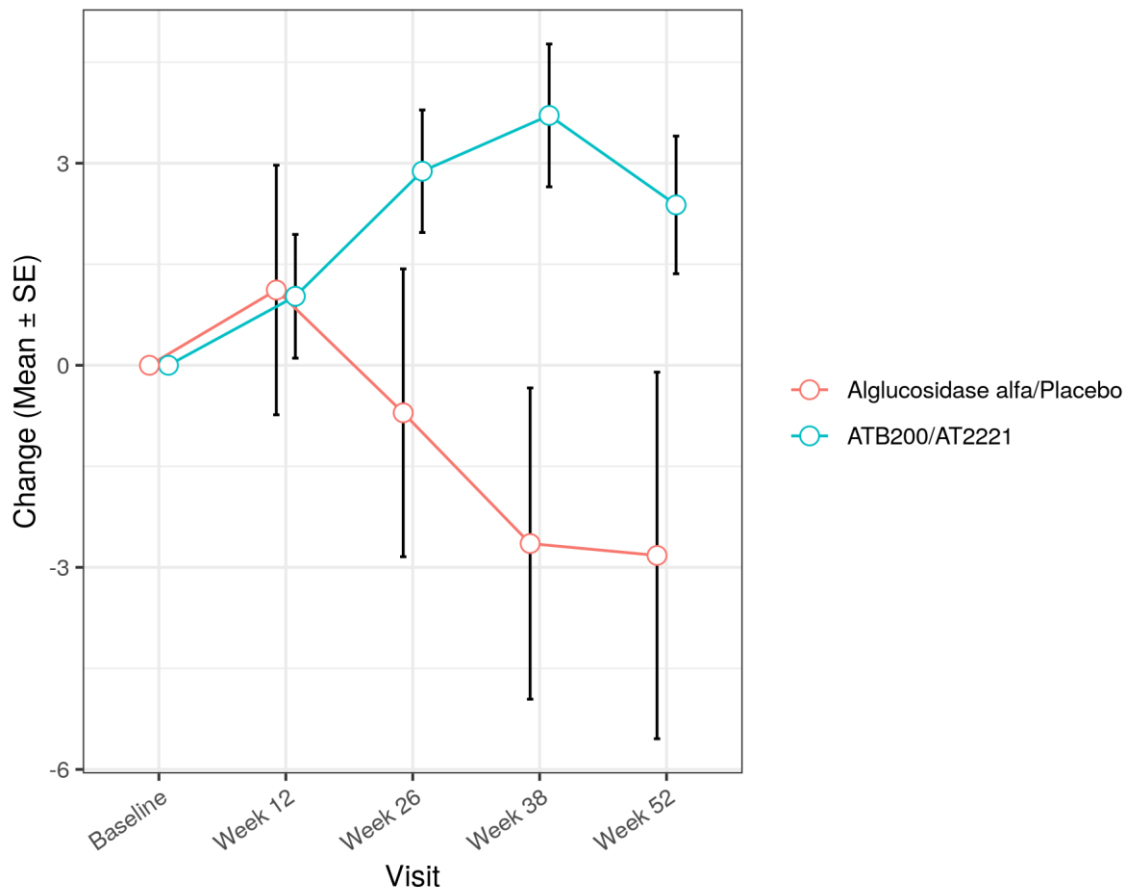
**35.7.1.05.01.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Körperliche Funktion (20a)  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 07\_2**

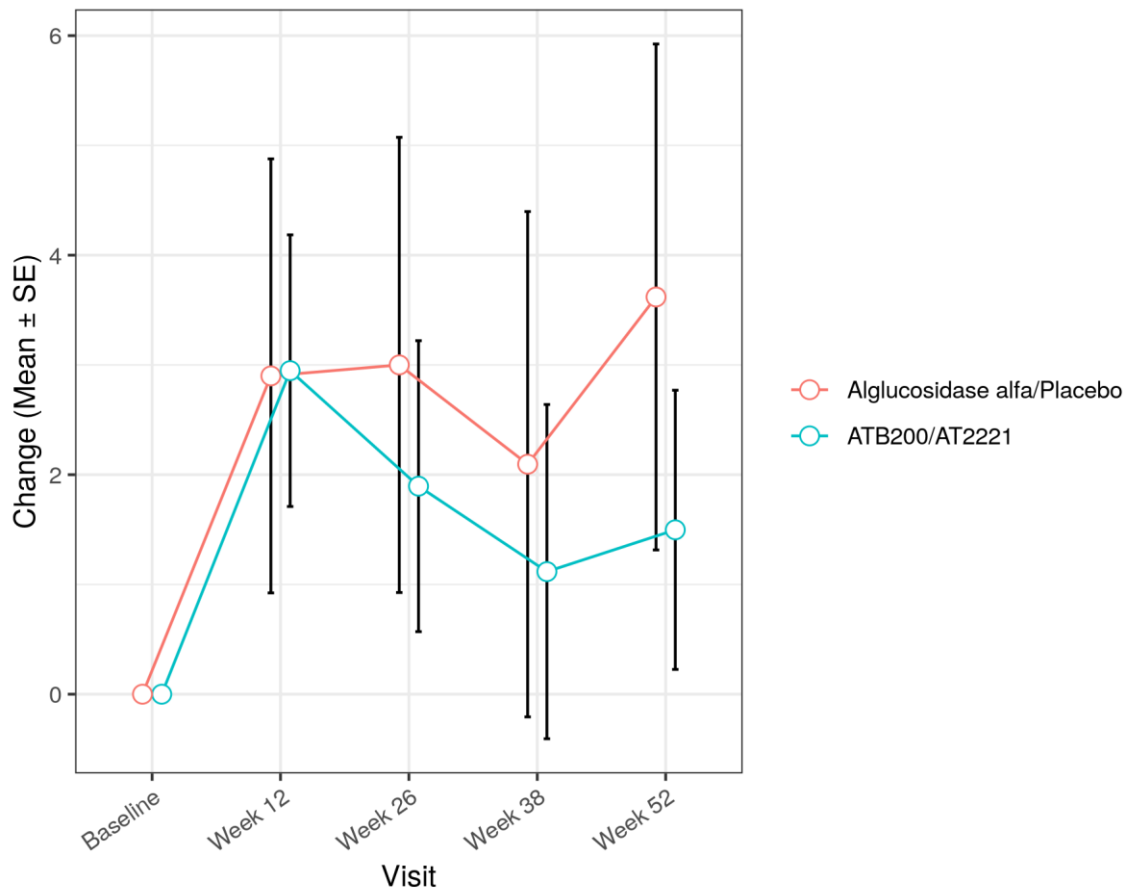
35.7.1.05.01 07\_2



**35.7.1.05.01.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Körperliche Funktion (20a)  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 08\_1**

35.7.1.05.01 08\_1



**1. 35.7.1.05.01.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Körperliche Funktion (20a)  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 08\_2****35.7.1.05.01 08\_2**

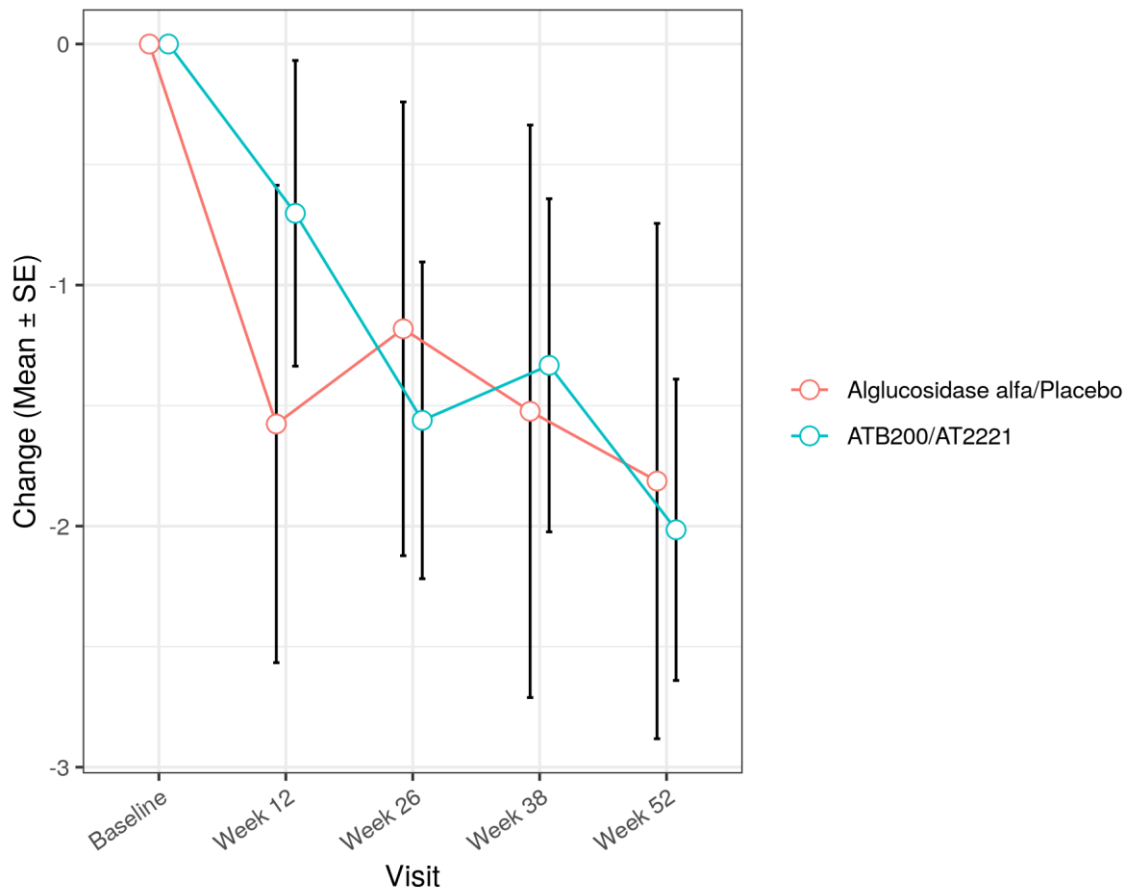
**35.7.1.05.02.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Fatigue (8a)****35.7.1.05.02.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Fatigue (8a): Analyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidas- e alfa/ Miglustat	Algluco- sidas- e alfa/ Placebo	
N	85	38	-
<b>Veränderung des PROMIS-Wertes Fatigue (8a)</b>			
<b>Baseline</b>			
n/N (%)	85/85 (100)	38/38 (100)	-
MW (SD)	22,26 (8,304)	21,18 (6,048)	
<b>Änderung zu Woche 12</b>			
n/N (%)	85/85 (100)	38/38 (100)	Hedges` g 0,15 [-0,236; 0,529] 0,4531
MW (SD)	-0,70 (5,845)	-1,58 (6,104)	
LS MW (SE)	-0,70 (0,608)	-1,58 (0,924)	LS MD 0,88 [-1,347; 3,107] 0,4353
95 %-KI	-1,905; 0,504	-3,410; 0,249	
<b>Änderung zu Woche 26</b>			
n/N (%)	85/85 (100)	38/38 (100)	Hedges` g -0,06 [-0,446; 0,319] 0,7466
MW (SD)	-1,56 (6,058)	-1,18 (5,802)	
LS MW (SE)	-1,51 (0,591)	-1,29 (0,897)	LS MD -0,22 [-2,384; 1,940] 0,8392
95 %-KI	-2,682; -0,343	-3,066; 0,485	
<b>Änderung zu Woche 38</b>			
n/N (%)	85/85 (100)	38/38 (100)	Hedges` g 0,03 [-0,354; 0,411] 0,8843
MW (SD)	-1,33 (6,370)	-1,52 (7,320)	
LS MW (SE)	-1,15 (0,652)	-1,94 (0,990)	

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-2,438; 0,146	-3,902; 0,020	LS MD 0,80 [-1,592; 3,182] 0,5107
<b>Änderung zu Woche 52</b>			
n/N (%)	85/85 (100)	38/38 (100)	Hedges` g -0,03 [-0,416; 0,349] 0,8644
MW (SD)	-2,02 (5,763)	-1,81 (6,590)	
LS MW (SE)	-1,91 (0,584)	-2,04 (0,886)	LS MD 0,13 [-2,004; 2,269] 0,9026
95 %-KI	-3,068; -0,756	-3,799; -0,289	
<p><sup>a</sup>Die Veränderung der Punktwerte gegenüber Baseline plus 95 %-KI und p-Wert zu jedem spezifizierten Zeitpunkt wurden mit einer ANCOVA, stratifiziert nach Geschlecht, Alter, Gewicht und Größe zu Baseline und ERT-Status mit dem Baseline-Wert der jeweiligen Skala als Kovariate auf Basis der Mittelwerte der kleinsten Quadrate analysiert. Das Effektmaß Hedges` g ist die Differenz der Mittelwerte geteilt durch die gepoolte Standardabweichung.</p> <p>ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; LS MD: Mittelwertdifferenz der kleinsten Quadrate; LS MW (SE): Mittelwert der kleinsten Quadrate (Standardfehler); MW (SD): Mittelwert (Standardabweichung); N: Patienten mit Baselinewert; n: Anzahl der Patienten mit Baselinewert in der Analyse</p>			

**35.7.1.05.02.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Fatigue (8a)  
Mittelwertveränderungsplot**

35.7.1.05.02





**35.7.1.05.02.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Fatigue (8a): Interaktionstest**

<b>Veränderung des PROMIS-Wertes Fatigue (8a): Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,0567
02	0,5616
03	0,0513
04	0,0820
05	0,0844
06	0,0235
07	0,9032
08	0,0112
09	0,3706
10	0,2014
<p><sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</p> <p>In dem Interaktionstest bei Subgruppe 09 ERT-Dauer wird die Variable ERT-Status aus dem Model entfernt, da es keine Dauer der ERT Behandlung für ERT naive Patienten gibt</p>	

**35.7.1.05.02.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Fatigue (8a): Subgruppenanalyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>Veränderung des PROMIS-Wertes Fatigue (8a)</b>			
Baseline-Werte			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	36/36 (100)	20/20 (100)	-
MW (SD)	22,16 (7,730)	22,45 (6,637)	
2			
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	-
MW (SD)	22,32 (8,781)	19,78 (5,140)	
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	-
MW (SD)	19,44 (7,375)	23,00 (5,099)	
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	-
MW (SD)	21,90 (8,493)	19,49 (7,583)	
3			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	-
MW (SD)	24,58 (8,184)	21,20 (5,281)	
<b>07</b>			
1			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Algluco- sidade alfa/Placebo	
<b>N</b>	<b>85</b>	<b>38</b>	-
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	-
MW (SD)	22,28 (8,206)	21,15 (4,775)	
<b>2</b>			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	-
MW (SD)	22,23 (8,496)	21,21 (7,239)	
<b>08</b>			
<b>1</b>			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	-
MW (SD)	22,12 (8,143)	21,65 (5,159)	
<b>2</b>			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	-
MW (SD)	22,39 (8,553)	20,80 (6,786)	
Änderung zu Woche 12			
<b>01</b>			
<b>1</b>			
n/N (%)	36/36 (100)	20/20 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,05 (6,421)	-2,29 (6,341)	0,35 [-0,204; 0,897]
LS MW (SE)	-0,32 (0,929)	-1,81 (1,266)	LS MD
95 %-KI	-2,189; 1,545	-4,350; 0,738	1,48 [-1,749; 4,718] 0,3608
<b>2</b>			
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Algluco- sidade alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	-1,18 (5,401)	-0,78 (5,907)	-0,07 [-0,612; 0,468]
LS MW (SE)	-1,08 (0,795)	-1,06 (1,352)	LS MD
95 %-KI	-2,670; 0,512	-3,761; 1,647	-0,02 [-3,236; 3,192] 0,9889
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,50 (5,177)	-0,73 (7,198)	0,20 [-0,574; 0,966]
LS MW (SE)	0,10 (1,754)	-0,15 (2,185)	LS MD
95 %-KI	-3,570; 3,775	-4,722; 4,423	0,25 [-6,079; 6,583] 0,9345
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-1,06 (5,643)	-0,57 (2,667)	-0,09 [-0,733; 0,547]
LS MW (SE)	-1,03 (0,762)	-0,70 (1,456)	LS MD
95 %-KI	-2,560; 0,505	-3,631; 2,228	-0,33 [-3,652; 2,999] 0,8444
3			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,85 (6,637)	-3,00 (7,231)	0,31 [-0,331; 0,947]
LS MW (SE)	-0,75 (1,345)	-3,17 (1,820)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-3,484; 1,988	-6,874; 0,534	2,42 [-2,399; 7,242] 0,3142
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,17 (6,862)	-0,94 (7,610)	0,15 [-0,388; 0,697]
LS MW (SE)	0,36 (1,021)	-1,36 (1,561)	LS MD
95 %-KI	-1,688; 2,407	-4,493; 1,769	1,72 [-2,136; 5,579] 0,3748
2			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-1,55 (4,568)	-2,21 (4,224)	0,15 [-0,395; 0,686]
LS MW (SE)	-1,60 (0,689)	-2,11 (1,046)	LS MD
95 %-KI	-2,979; -0,217	-4,207; -0,013	0,51 [-2,023; 3,047] 0,6872
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,93 (6,830)	-0,53 (7,358)	-0,06 [-0,620; 0,507]
LS MW (SE)	-0,79 (0,967)	-0,88 (1,537)	LS MD
95 %-KI	-2,726; 1,156	-3,970; 2,202	0,10 [-3,587; 3,785] 0,9572

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
2			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,48 (4,764)	-2,42 (4,893)	0,40 [-0,127; 0,926]
LS MW (SE)	-0,54 (0,726)	-2,31 (1,062)	LS MD
95 %-KI	-1,994; 0,916	-4,435; -0,178	1,77 [-0,881; 4,417] 0,1867
Änderung zu Woche 26			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	36/36 (100)	20/20 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-1,05 (5,813)	-2,54 (4,273)	0,28 [-0,272; 0,826]
LS MW (SE)	-1,16 (0,791)	-2,35 (1,077)	LS MD
95 %-KI	-2,749; 0,428	-4,511; -0,181	1,18 [-1,567; 3,937] 0,3911
2			
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-1,94 (6,264)	0,33 (6,945)	-0,35 [-0,892; 0,196]
LS MW (SE)	-1,73 (0,877)	-0,23 (1,491)	LS MD
95 %-KI	-3,485; 0,025	-3,211; 2,752	-1,50 [-5,044; 2,044] 0,4005
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	-1,75 (6,496)	-1,45 (5,556)	-0,05 [-0,814; 0,721]
LS MW (SE)	-2,57 (1,590)	-0,26 (1,980)	LS MD
95 %-KI	-5,897; 0,759	-4,407; 3,880	-2,31 [-8,043; 3,432] 0,4108
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,76 (6,452)	-0,74 (3,835)	-0,00 [-0,643; 0,637]
LS MW (SE)	-0,62 (0,801)	-1,26 (1,530)	LS MD
95 %-KI	-2,227; 0,995	-4,338; 1,820	0,64 [-2,852; 4,138] 0,7130
3			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-2,77 (5,038)	-1,33 (7,423)	-0,23 [-0,872; 0,403]
LS MW (SE)	-2,82 (1,060)	-1,25 (1,436)	LS MD
95 %-KI	-4,976; -0,661	-4,169; 1,672	-1,57 [-5,371; 2,231] 0,4067
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-1,21 (7,077)	0,11 (7,076)	-0,18 [-0,727; 0,358]
LS MW (SE)	-1,07 (0,917)	-0,21 (1,402)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-2,908; 0,769	-3,016; 2,606	-0,86 [-4,328; 2,599] 0,6189
2			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-1,90 (4,925)	-2,47 (3,949)	0,12 [-0,419; 0,662]
LS MW (SE)	-1,83 (0,704)	-2,64 (1,069)	LS MD
95 %-KI	-3,239; -0,415	-4,786; -0,500	0,82 [-1,775; 3,407] 0,5305
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-2,40 (5,984)	0,47 (6,783)	-0,46 [-1,026; 0,114]
LS MW (SE)	-2,32 (0,865)	0,27 (1,376)	LS MD
95 %-KI	-4,061; -0,587	-2,491; 3,034	-2,60 [-5,895; 0,703] 0,1204
2			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,74 (6,085)	-2,52 (4,611)	0,31 [-0,213; 0,836]
LS MW (SE)	-0,61 (0,800)	-2,78 (1,170)	LS MD
95 %-KI	-2,213; 0,992	-5,121; -0,434	2,17 [-0,750; 5,084] 0,1424
Änderung zu Woche 38			



PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	36/36 (100)	20/20 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,57 (6,677)	-2,54 (6,225)	0,30 [-0,251; 0,849]
LS MW (SE)	-0,79 (0,972)	-2,14 (1,325)	LS MD
95 %-KI	-2,743; 1,164	-4,806; 0,519	1,35 [-2,030; 4,738] 0,4252
2			
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-1,90 (6,144)	-0,39 (8,410)	-0,22 [-0,760; 0,323]
LS MW (SE)	-1,43 (0,903)	-1,67 (1,534)	LS MD
95 %-KI	-3,232; 0,380	-4,738; 1,400	0,24 [-3,404; 3,892] 0,8941
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,81 (6,493)	-2,09 (7,021)	0,18 [-0,585; 0,954]
LS MW (SE)	-1,50 (1,409)	-1,10 (1,755)	LS MD
95 %-KI	-4,446; 1,454	-4,770; 2,576	-0,40 [-5,485; 4,686] 0,8712
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	-1,38 (6,484)	1,18 (8,324)	-0,36 [-1,008; 0,279]
LS MW (SE)	-1,21 (0,902)	0,56 (1,725)	LS MD
95 %-KI	-3,023; 0,608	-2,909; 4,031	-1,77 [-5,708; 2,171] 0,3710
3			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-1,58 (6,338)	-3,27 (6,497)	0,26 [-0,379; 0,897]
LS MW (SE)	-1,23 (1,214)	-3,88 (1,644)	LS MD
95 %-KI	-3,695; 1,245	-7,220; -0,532	2,65 [-1,701; 7,003] 0,2240
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-1,51 (7,073)	-2,10 (7,997)	0,08 [-0,463; 0,621]
LS MW (SE)	-1,26 (1,002)	-2,66 (1,532)	LS MD
95 %-KI	-3,270; 0,750	-5,730; 0,417	1,40 [-2,390; 5,183] 0,4627
2			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-1,16 (5,679)	-0,95 (6,745)	-0,03 [-0,575; 0,505]
LS MW (SE)	-1,02 (0,869)	-1,25 (1,318)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-2,766; 0,717	-3,893; 1,394	0,22 [-2,971; 3,421] 0,8885
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-2,36 (6,963)	-1,18 (7,552)	-0,16 [-0,728; 0,401]
LS MW (SE)	-2,29 (0,957)	-1,35 (1,522)	LS MD
95 %-KI	-4,211; -0,367	-4,401; 1,711	-0,94 [-4,594; 2,706] 0,6059
2			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,33 (5,636)	-1,80 (7,302)	0,23 [-0,290; 0,757]
LS MW (SE)	0,10 (0,893)	-2,68 (1,305)	LS MD
95 %-KI	-1,691; 1,884	-5,298; -0,068	2,78 [-0,475; 6,035] 0,0926
Änderung zu Woche 52			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	36/36 (100)	20/20 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-1,87 (5,946)	-3,19 (6,922)	0,21 [-0,341; 0,755]
LS MW (SE)	-2,15 (0,885)	-2,70 (1,206)	LS MD

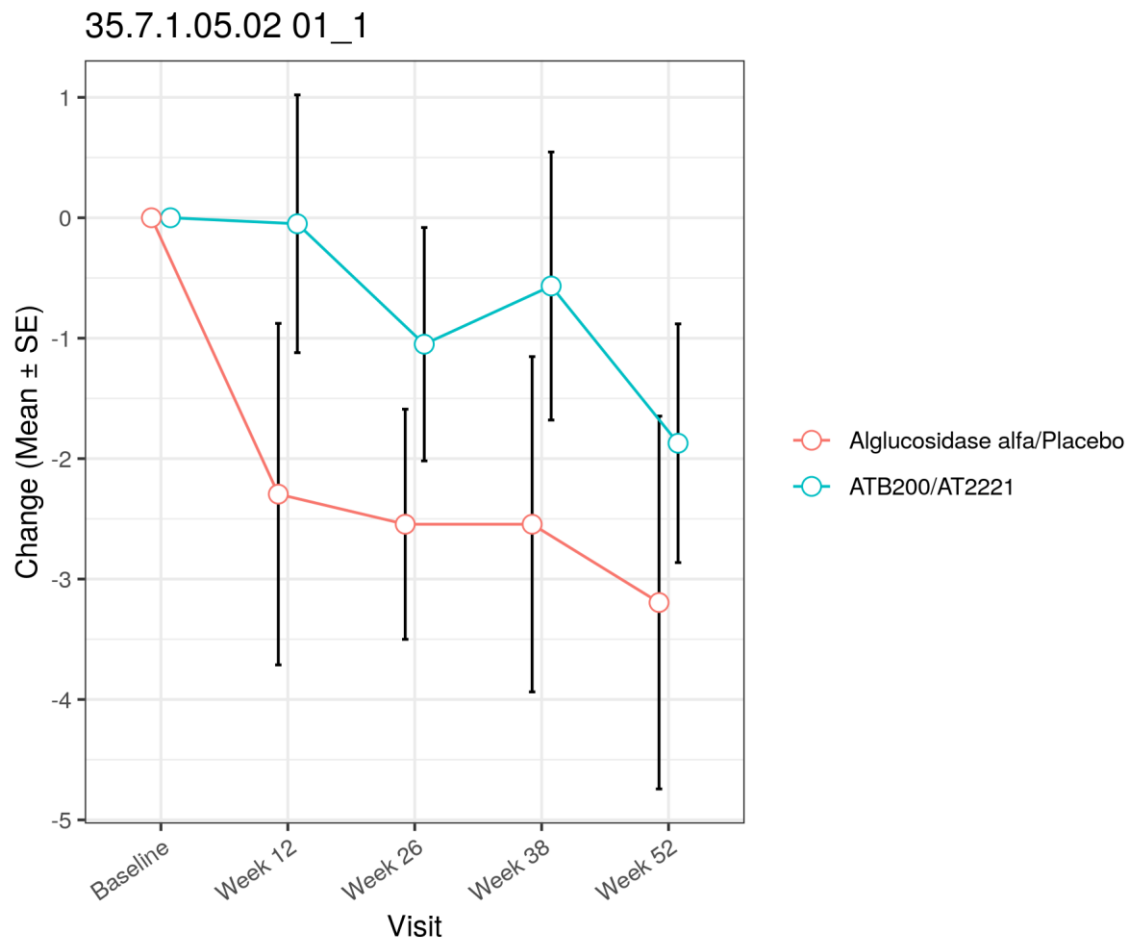
PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-3,925; -0,368	-5,126; -0,277	0,55 [-2,527; 3,636] 0,7191
2			
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-2,12 (5,683)	-0,28 (6,018)	-0,32 [-0,858; 0,227]
LS MW (SE)	-1,80 (0,785)	-1,16 (1,333)	LS MD
95 %-KI	-3,366; -0,226	-3,828; 1,507	-0,64 [-3,806; 2,535] 0,6898
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-1,44 (6,324)	-2,73 (6,559)	0,19 [-0,575; 0,965]
LS MW (SE)	-2,12 (1,627)	-1,73 (2,025)	LS MD
95 %-KI	-5,529; 1,280	-5,967; 2,511	-0,40 [-6,266; 5,473] 0,8890
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-2,36 (5,425)	1,01 (4,537)	-0,63 [-1,283; 0,020]
LS MW (SE)	-2,25 (0,657)	0,61 (1,256)	LS MD
95 %-KI	-3,567; -0,923	-1,916; 3,138	-2,86 [-5,725; 0,012] 0,0509
3			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Algluco- sidade alfa/Placebo	
N	85	38	-
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-1,81 (6,139)	-3,40 (7,595)	0,23 [-0,405; 0,871]
LS MW (SE)	-1,42 (1,269)	-4,07 (1,718)	LS MD
95 %-KI	-4,003; 1,160	-7,564; -0,575	2,65 [-1,900; 7,196] 0,2447
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-2,06 (6,037)	-1,78 (7,796)	-0,04 [-0,583; 0,501]
LS MW (SE)	-1,90 (0,898)	-2,13 (1,373)	LS MD
95 %-KI	-3,702; -0,101	-4,887; 0,620	0,23 [-3,160; 3,624] 0,8914
2			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-1,97 (5,553)	-1,84 (5,336)	-0,02 [-0,563; 0,517]
LS MW (SE)	-1,91 (0,779)	-1,99 (1,183)	LS MD
95 %-KI	-3,470; -0,346	-4,358; 0,384	0,08 [-2,788; 2,946] 0,9562
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-2,98 (6,202)	-0,88 (7,070)	-0,32 [-0,887; 0,247]

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
LS MW (SE)	-2,92 (0,813)	-1,03 (1,293)	LS MD
95 %-KI	-4,548; -1,283	-3,628; 1,563	-1,88 [-4,982; 1,217] 0,2284
2			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-1,08 (5,200)	-2,57 (6,246)	0,26 [-0,259; 0,789]
LS MW (SE)	-0,81 (0,805)	-3,11 (1,178)	LS MD
95 %-KI	-2,427; 0,800	-5,466; -0,746	2,29 [-0,645; 5,230] 0,1236
<p><sup>a</sup>Die Veränderung der Punktwerte gegenüber Baseline plus 95 %-KI und p-Wert zu jedem spezifizierten Zeitpunkt wurden mit einer ANCOVA, stratifiziert nach Geschlecht, Alter, Gewicht und Größe zu Baseline und ERT-Status mit dem Baseline-Wert der jeweiligen Skala als Kovariate auf Basis der Mittelwerte der kleinsten Quadrate analysiert.durch die gepoolte Standardabweichung.</p> <p>ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; LS MD: Mittelwertdifferenz der kleinsten Quadrate; LS MW (SE): Mittelwert der kleinsten Quadrate (Standardfehler); MW (SD): Mittelwert (Standardabweichung); N: Patienten mit Baselinewert; n: Anzahl der Patienten mit Baselinewert in der Analyse</p>			

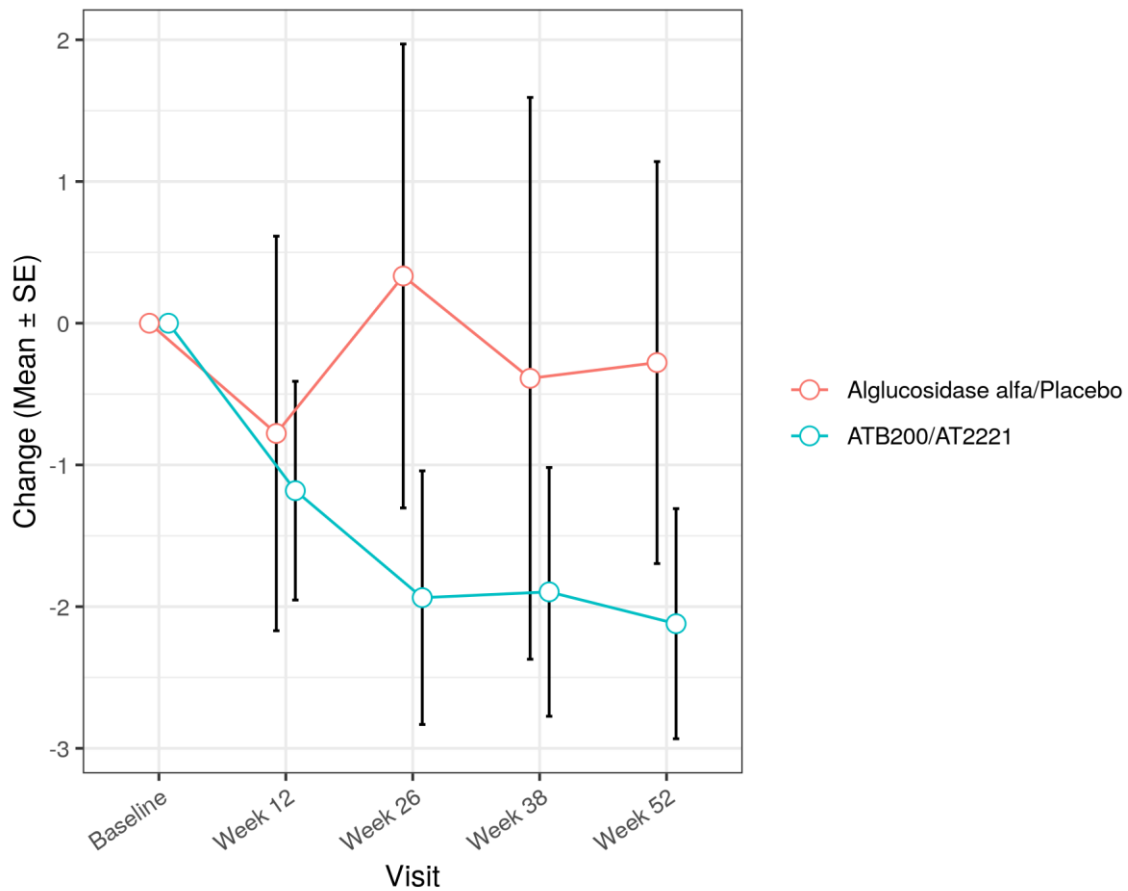
**35.7.1.05.02.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Fatigue (8a): Mittelwertveränderungsplots der Subgruppen**

**35.7.1.05.02.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Fatigue (8a) Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 01\_1**



**35.7.1.05.02.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Fatigue (8a)  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 01\_2**

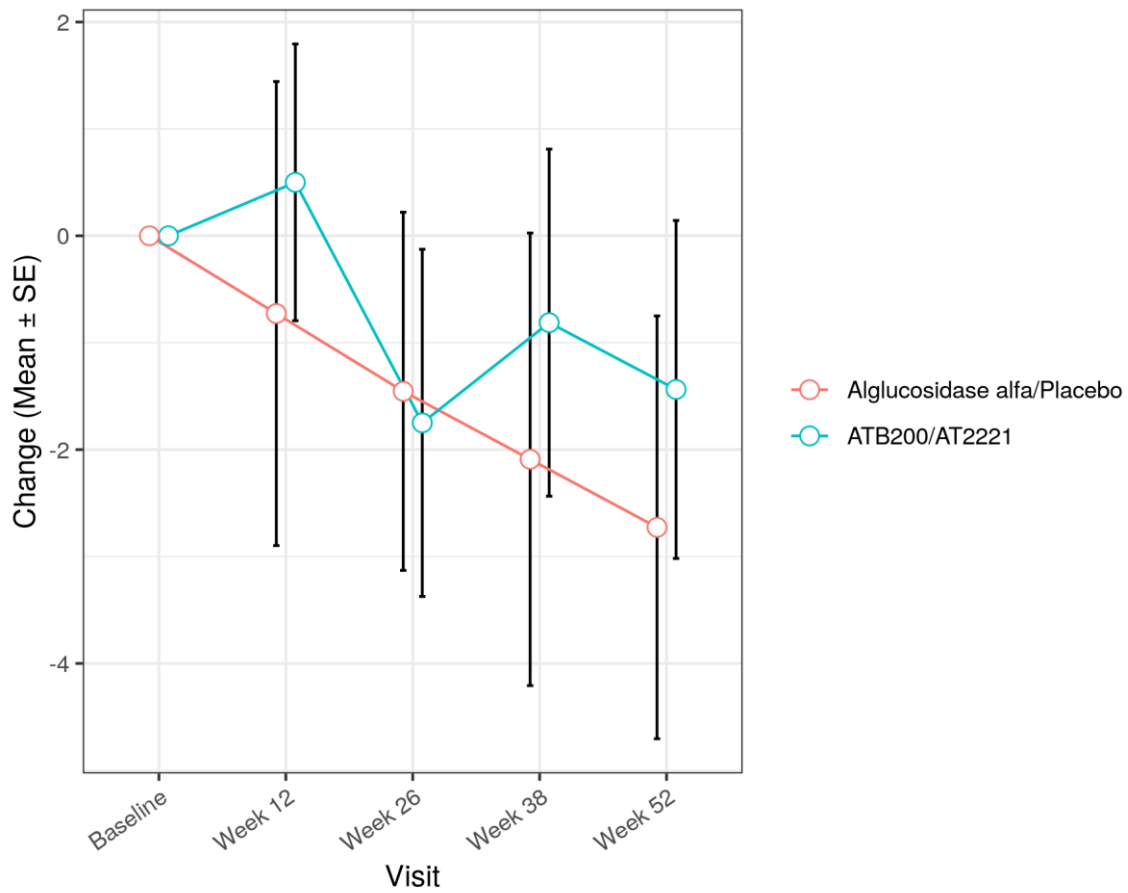
35.7.1.05.02 01\_2





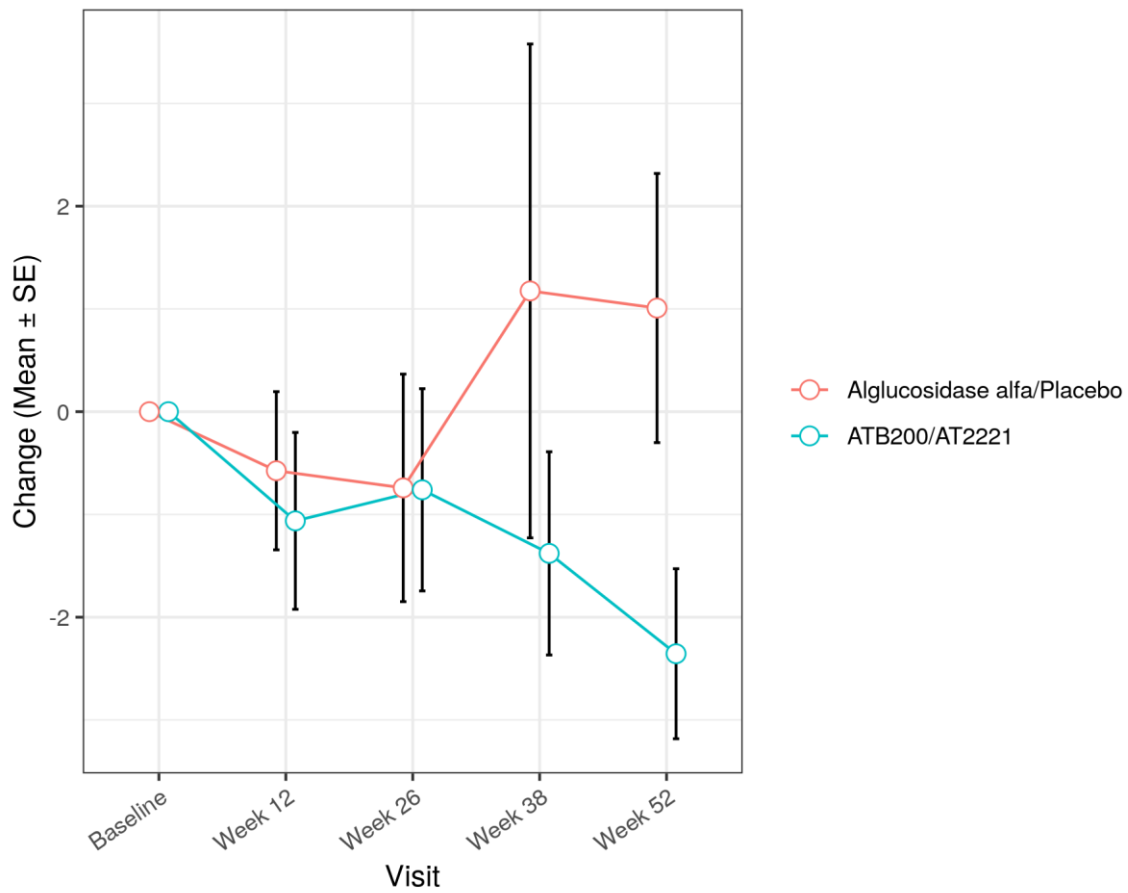
**35.7.1.05.02.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Fatigue (8a)  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 03\_1**

35.7.1.05.02 03\_1



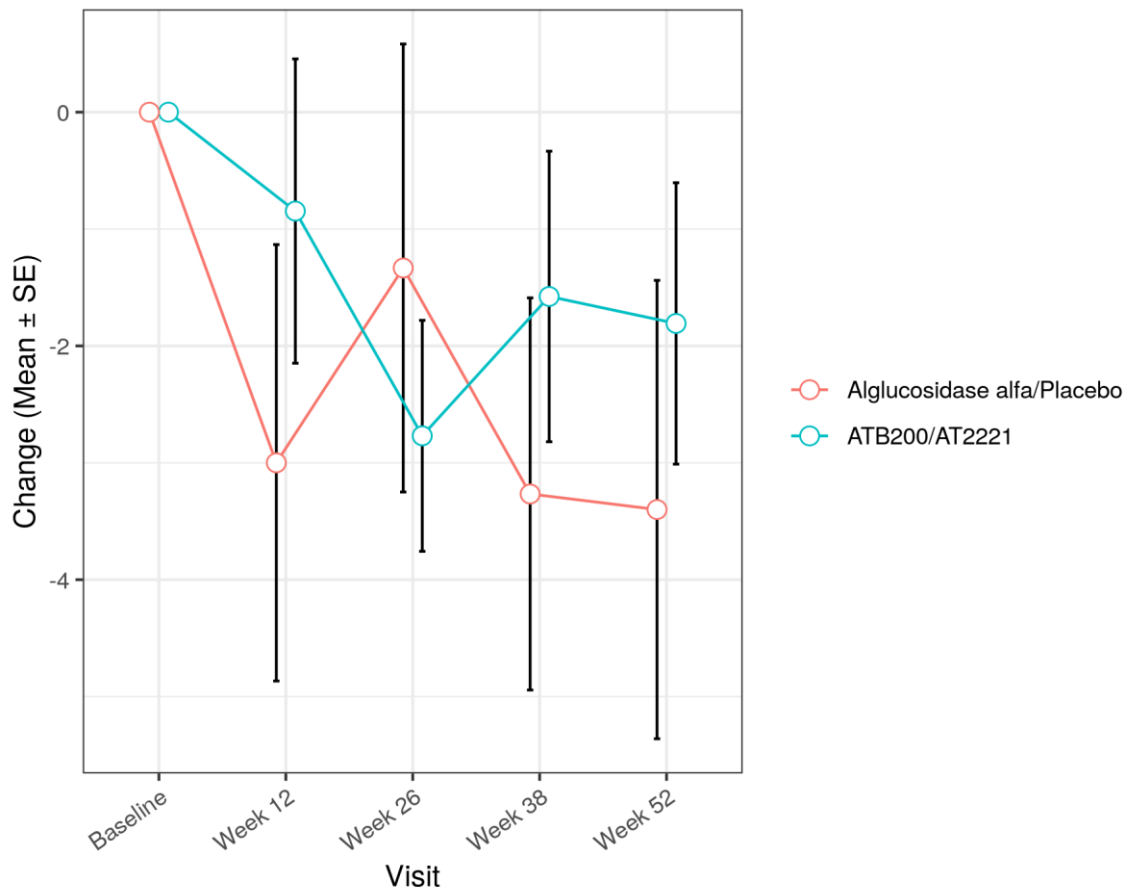
**35.7.1.05.02.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Fatigue (8a)  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 03\_2**

35.7.1.05.02 03\_2

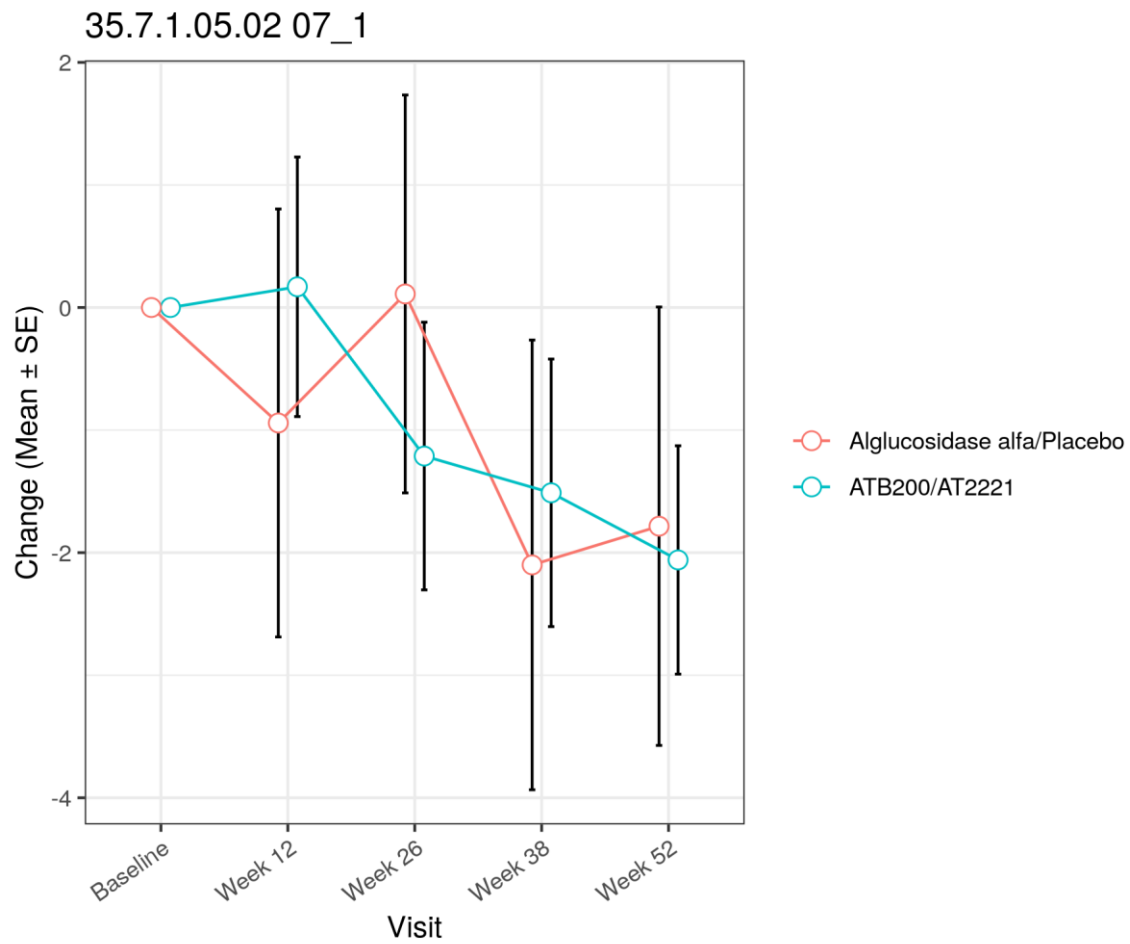


**35.7.1.05.02.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Fatigue (8a)  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 03\_3**

35.7.1.05.02 03\_3

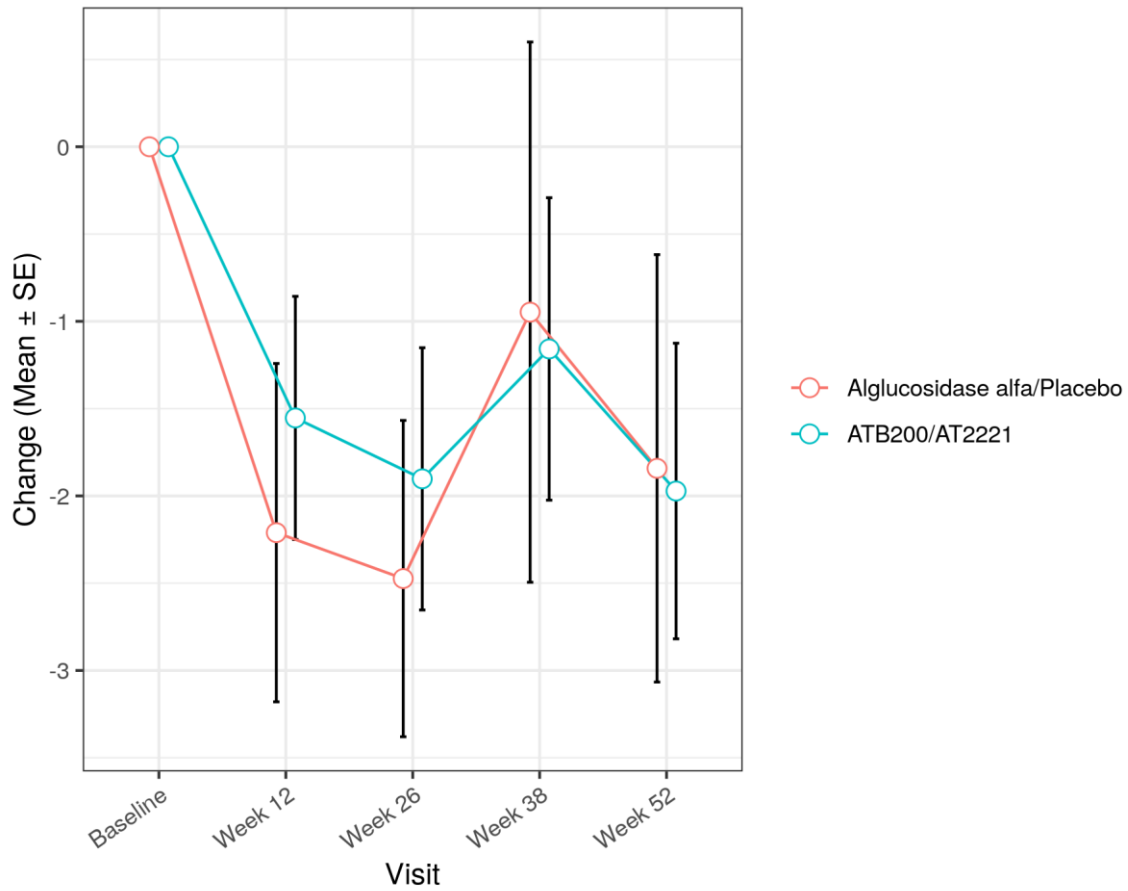


**35.7.1.05.02.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Fatigue (8a)  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 07\_1**



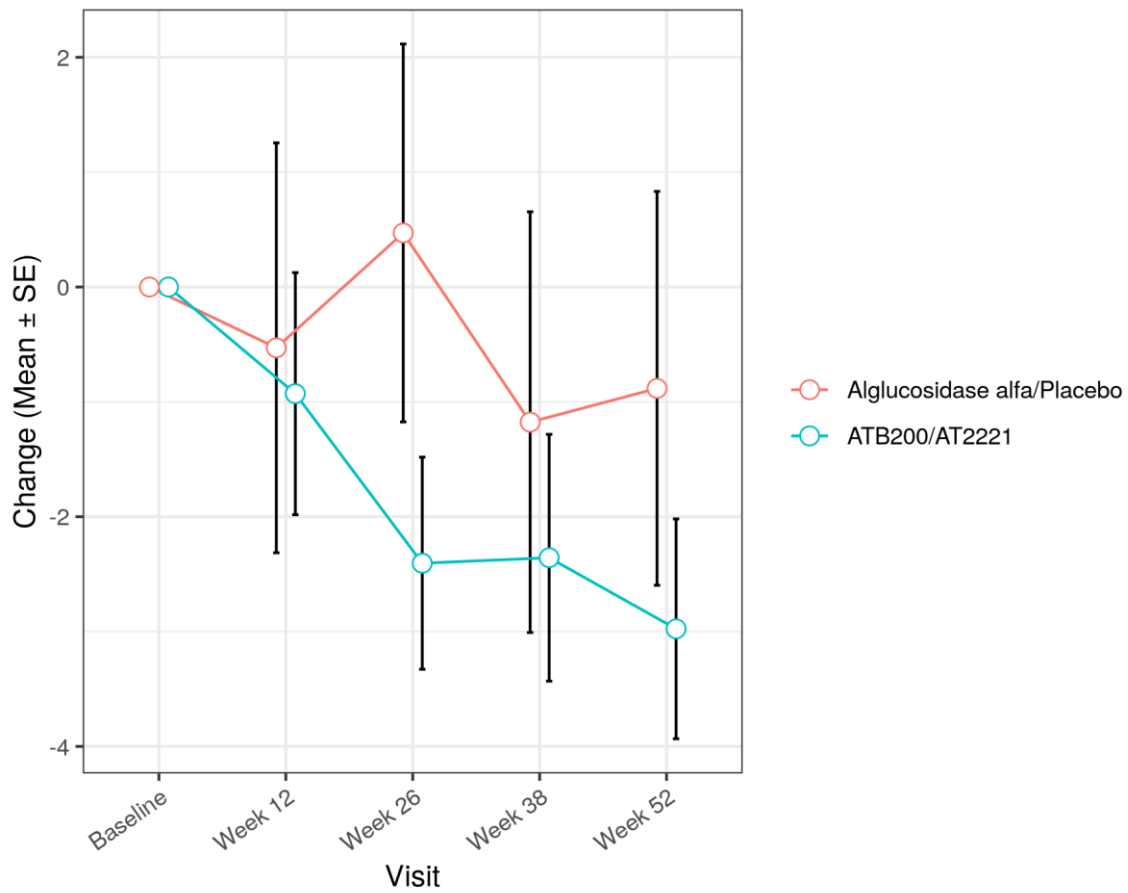
**35.7.1.05.02.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Fatigue (8a)  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 07\_2**

35.7.1.05.02 07\_2



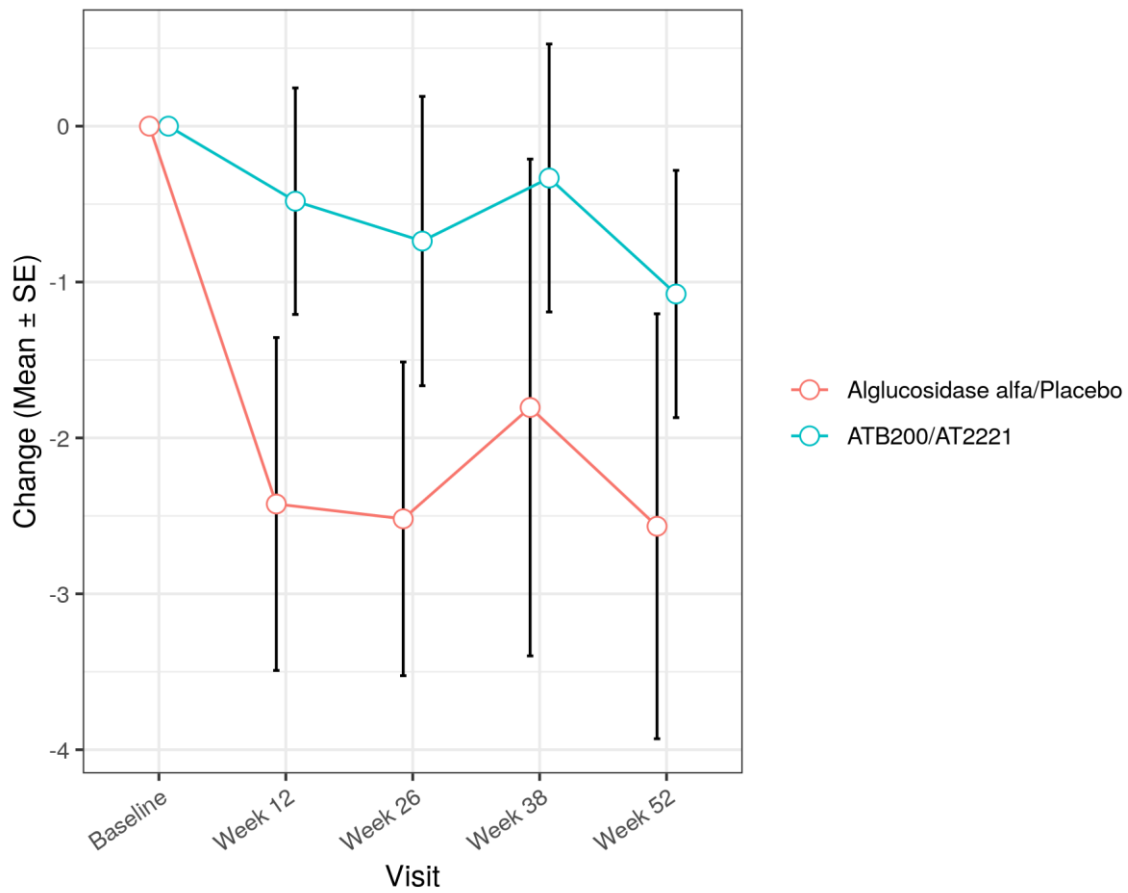
**35.7.1.05.02.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Fatigue (8a)  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 08\_1**

35.7.1.05.02 08\_1



**35.7.1.05.02.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Fatigue (8a)  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 08\_2**

35.7.1.05.02 08\_2



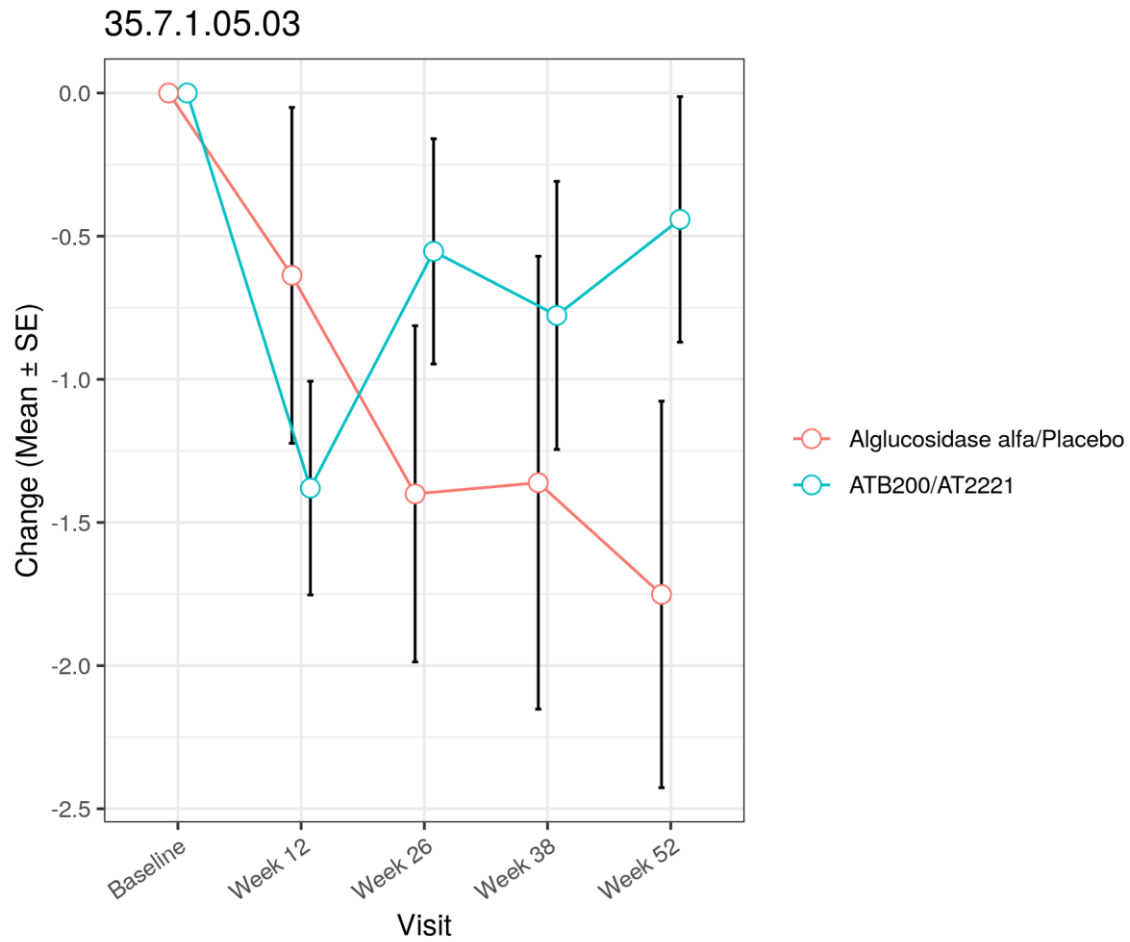
**35.7.1.05.03.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Dyspnoe (10a)****35.7.1.05.03.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Dyspnoe (10a): Analyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>Veränderung des PROMIS-Wertes Dyspnoe (10a)</b>			
<b>Baseline</b>			
n/N (%)	85/85 (100)	38/38 (100)	-
MW (SD)	8,10 (4,666)	7,74 (4,768)	
<b>Änderung zu Woche 12</b>			
n/N (%)	85/85 (100)	38/38 (100)	Hedges` g -0,21 [-0,595; 0,172] 0,2801
MW (SD)	-1,38 (3,441)	-0,64 (3,616)	
LS MW (SE)	-1,31 (0,375)	-0,80 (0,569)	LS MD -0,51 [-1,880; 0,859] 0,4616
95 %-KI	-2,051; -0,565	-1,924; 0,329	
<b>Änderung zu Woche 26</b>			
n/N (%)	81/85 (95)	36/38 (95)	Hedges` g 0,23 [-0,162; 0,626] 0,2479
MW (SD)	-0,55 (3,627)	-1,40 (3,619)	
LS MW (SE)	-0,59 (0,406)	-1,33 (0,619)	LS MD 0,74 [-0,749; 2,233] 0,3263
95 %-KI	-1,391; 0,220	-2,554; -0,101	
<b>Änderung zu Woche 38</b>			
n/N (%)	82/85 (96)	36/38 (95)	Hedges` g 0,13 [-0,263; 0,521] 0,5186
MW (SD)	-0,78 (4,318)	-1,36 (4,876)	
LS MW (SE)	-0,69 (0,491)	-1,56 (0,752)	



PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-1,664; 0,281	-3,047; -0,065	LS MD 0,86 [-0,945; 2,674] 0,3456
<b>Änderung zu Woche 52</b>			
n/N (%)	82/85 (96)	37/38 (97)	Hedges` g 0,32 [-0,067; 0,714] 0,1039
MW (SD)	-0,44 (3,952)	-1,75 (4,162)	
LS MW (SE)	-0,43 (0,434)	-1,78 (0,655)	LS MD 1,35 [-0,228; 2,934] 0,0927
95 %-KI	-1,288; 0,432	-3,079; -0,483	
<p><sup>a</sup>Die Veränderung der Punktwerte gegenüber Baseline plus 95 %-KI und p-Wert zu jedem spezifizierten Zeitpunkt wurden mit einer ANCOVA, stratifiziert nach Geschlecht, Alter, Gewicht und Größe zu Baseline und ERT-Status mit dem Baseline-Wert der jeweiligen Skala als Kovariate auf Basis der Mittelwerte der kleinsten Quadrate analysiert. Das Effektmaß Hedges` g ist die Differenz der Mittelwerte geteilt durch die gepoolte Standardabweichung.</p> <p>ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; LS MD: Mittelwertdifferenz der kleinsten Quadrate; LS MW (SE): Mittelwert der kleinsten Quadrate (Standardfehler); MW (SD): Mittelwert (Standardabweichung); N: Patienten mit Baselinewert; n: Anzahl der Patienten mit Baselinewert in der Analyse</p>			

**35.7.1.05.03.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Dyspnoe (10a)**  
**Mittelwertveränderungsplot**



**35.7.1.05.03.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Dyspnoe (10a): Interaktionstest**

<b>Veränderung des PROMIS-Wertes Dyspnoe (10a): Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,0029
02	0,0167
03	0,2545
04	0,0001
05	0,2178
06	0,2585
07	0,0481
08	0,4053
09	0,6372
10	0,4658
<p><sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</p> <p>In dem Interaktionstest bei Subgruppe 09 ERT-Dauer wird die Variable ERT-Status aus dem Model entfernt, da es keine Dauer der ERT Behandlung für ERT naive Patienten gibt</p>	

**35.7.1.05.03.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Dyspnoe (10a): Subgruppenanalyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>Veränderung des PROMIS-Wertes Dyspnoe (10a)</b>			
Baseline-Werte			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	36/36 (100)	20/20 (100)	-
MW (SD)	8,56 (5,152)	7,44 (4,814)	
2			
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	-
MW (SD)	7,76 (4,297)	8,07 (4,832)	
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	-
MW (SD)	7,34 (4,997)	8,58 (5,545)	
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	-
MW (SD)	8,25 (5,097)	7,37 (5,103)	
3			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	-
MW (SD)	8,32 (3,751)	7,42 (4,108)	
<b>07</b>			
1			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Alglucosidade alfa/Placebo	
<b>N</b>	<b>85</b>	<b>38</b>	-
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	-
MW (SD)	8,48 (3,719)	9,44 (4,082)	
<b>2</b>			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	-
MW (SD)	7,73 (5,455)	6,04 (4,893)	
<b>08</b>			
<b>1</b>			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	-
MW (SD)	9,35 (5,097)	10,82 (4,310)	
<b>2</b>			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	-
MW (SD)	6,87 (3,880)	5,25 (3,553)	
Änderung zu Woche 12			
<b>01</b>			
<b>1</b>			
n/N (%)	36/36 (100)	20/20 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-1,82 (3,517)	-0,50 (4,602)	-0,33 [-0,882; 0,218]
LS MW (SE)	-1,49 (0,625)	-1,11 (0,853)	LS MD
95 %-KI	-2,742; -0,231	-2,823; 0,605	-0,38 [-2,560; 1,806] 0,7299
<b>2</b>			
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	-1,05 (3,383)	-0,79 (2,177)	-0,08 [-0,624; 0,457]
LS MW (SE)	-1,00 (0,460)	-0,93 (0,777)	LS MD
95 %-KI	-1,924; -0,082	-2,480; 0,628	-0,08 [-1,917; 1,764] 0,9338
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-3,05 (3,345)	-0,57 (4,494)	-0,62 [-1,413; 0,164]
LS MW (SE)	-3,03 (0,839)	-0,61 (1,035)	LS MD
95 %-KI	-4,782; -1,270	-2,775; 1,559	-2,42 [-5,369; 0,532] 0,1025
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,81 (3,667)	-0,38 (4,512)	-0,11 [-0,751; 0,530]
LS MW (SE)	-0,77 (0,587)	-0,50 (1,118)	LS MD
95 %-KI	-1,953; 0,410	-2,751; 1,749	-0,27 [-2,821; 2,279] 0,8317
3			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-1,30 (2,850)	-0,89 (2,000)	-0,15 [-0,791; 0,482]
LS MW (SE)	-1,19 (0,515)	-1,09 (0,691)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-2,234; -0,139	-2,496; 0,315	-0,10 [-1,905; 1,714] 0,9153
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-1,27 (4,096)	-1,18 (4,681)	-0,02 [-0,563; 0,521]
LS MW (SE)	-1,22 (0,687)	-1,29 (1,048)	LS MD
95 %-KI	-2,599; 0,159	-3,394; 0,808	0,07 [-2,508; 2,656] 0,9546
2			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-1,49 (2,698)	-0,09 (2,085)	-0,54 [-1,092; 0,006]
LS MW (SE)	-1,38 (0,370)	-0,32 (0,563)	LS MD
95 %-KI	-2,126; -0,644	-1,453; 0,805	-1,06 [-2,429; 0,308] 0,1261
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-2,12 (3,288)	-0,36 (2,579)	-0,56 [-1,130; 0,015]
LS MW (SE)	-2,00 (0,482)	-0,65 (0,769)	LS MD
95 %-KI	-2,971; -1,035	-2,195; 0,893	-1,35 [-3,200; 0,495] 0,1478

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
2			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,66 (3,471)	-0,86 (4,330)	0,05 [-0,470; 0,574]
LS MW (SE)	-0,41 (0,546)	-1,36 (0,802)	LS MD
95 %-KI	-1,507; 0,682	-2,967; 0,245	0,95 [-1,056; 2,953] 0,3473
Änderung zu Woche 26			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	33/36 (92)	18/20 (90)	Hedges` g
MW (SD)	-1,38 (2,886)	-0,61 (3,923)	-0,23 [-0,808; 0,344]
LS MW (SE)	-1,14 (0,584)	-1,06 (0,812)	LS MD
95 %-KI	-2,318; 0,035	-2,693; 0,578	-0,08 [-2,178; 2,011] 0,9361
2			
n/N (%)	48/49 (98)	18/18 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,02 (3,988)	-2,19 (3,202)	0,57 [0,024; 1,126]
LS MW (SE)	-0,14 (0,564)	-1,78 (0,941)	LS MD
95 %-KI	-1,264; 0,993	-3,662; 0,106	1,64 [-0,595; 3,880] 0,1472
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	10/11 (91)	Hedges` g



PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	-1,70 (2,902)	-0,78 (4,276)	-0,26 [-1,050; 0,538]
LS MW (SE)	-1,84 (0,843)	-0,56 (1,100)	LS MD
95 %-KI	-3,606; -0,064	-2,876; 1,748	-1,27 [-4,364; 1,822] 0,3992
2			
n/N (%)	41/43 (95)	11/12 (92)	Hedges` g
MW (SD)	0,05 (4,314)	-1,24 (4,025)	0,30 [-0,370; 0,966]
LS MW (SE)	0,12 (0,653)	-1,49 (1,269)	LS MD
95 %-KI	-1,195; 1,436	-4,051; 1,064	1,61 [-1,274; 4,501] 0,2663
3			
n/N (%)	24/26 (92)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,82 (2,503)	-1,93 (2,969)	0,41 [-0,247; 1,057]
LS MW (SE)	-1,00 (0,565)	-1,64 (0,726)	LS MD
95 %-KI	-2,154; 0,151	-3,126; -0,163	0,64 [-1,295; 2,580] 0,5038
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	39/42 (93)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,16 (3,948)	-1,93 (4,592)	0,42 [-0,144; 0,984]
LS MW (SE)	-0,29 (0,664)	-1,66 (1,005)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-1,625; 1,045	-3,680; 0,359	1,37 [-1,127; 3,868] 0,2755
2			
n/N (%)	42/43 (98)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,91 (3,309)	-0,87 (2,297)	-0,02 [-0,568; 0,537]
LS MW (SE)	-0,83 (0,462)	-1,06 (0,717)	LS MD
95 %-KI	-1,758; 0,096	-2,499; 0,377	0,23 [-1,507; 1,968] 0,7913
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	39/42 (93)	16/17 (94)	Hedges` g
MW (SD)	-0,81 (2,808)	-1,06 (2,770)	0,09 [-0,494; 0,671]
LS MW (SE)	-0,69 (0,465)	-1,33 (0,739)	LS MD
95 %-KI	-1,629; 0,243	-2,817; 0,157	0,64 [-1,149; 2,423] 0,4765
2			
n/N (%)	42/43 (98)	20/21 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,32 (4,272)	-1,68 (4,229)	0,31 [-0,221; 0,850]
LS MW (SE)	-0,24 (0,626)	-1,84 (0,935)	LS MD
95 %-KI	-1,498; 1,014	-3,711; 0,037	1,60 [-0,740; 3,930] 0,1765
Änderung zu Woche 38			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	33/36 (92)	18/20 (90)	Hedges` g
MW (SD)	-0,61 (4,230)	0,08 (4,999)	-0,15 [-0,727; 0,423]
LS MW (SE)	-0,42 (0,814)	-0,28 (1,131)	LS MD
95 %-KI	-2,056; 1,223	-2,554; 2,003	-0,14 [-3,059; 2,777] 0,9229
2			
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,89 (4,416)	-2,81 (4,420)	0,43 [-0,116; 0,975]
LS MW (SE)	-0,88 (0,638)	-2,82 (1,077)	LS MD
95 %-KI	-2,160; 0,392	-4,969; -0,662	1,93 [-0,619; 4,482] 0,1351
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	10/11 (91)	Hedges` g
MW (SD)	-1,96 (2,742)	-0,72 (5,472)	-0,30 [-1,095; 0,495]
LS MW (SE)	-2,05 (1,032)	-0,58 (1,347)	LS MD
95 %-KI	-4,214; 0,124	-3,409; 2,253	-1,47 [-5,255; 2,320] 0,4263
2			
n/N (%)	41/43 (95)	11/12 (92)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	-0,07 (4,741)	-0,74 (6,058)	0,13 [-0,536; 0,796]
LS MW (SE)	-0,03 (0,781)	-0,89 (1,518)	LS MD
95 %-KI	-1,606; 1,542	-3,950; 2,170	0,86 [-2,597; 4,312] 0,6194
3			
n/N (%)	25/26 (96)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-1,18 (4,339)	-2,25 (3,540)	0,26 [-0,385; 0,901]
LS MW (SE)	-1,18 (0,831)	-2,25 (1,092)	LS MD
95 %-KI	-2,869; 0,517	-4,471; -0,022	1,07 [-1,815; 3,957] 0,4552
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	40/42 (95)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,72 (4,571)	-1,94 (6,020)	0,24 [-0,320; 0,796]
LS MW (SE)	-0,80 (0,833)	-1,76 (1,279)	LS MD
95 %-KI	-2,472; 0,874	-4,333; 0,806	0,96 [-2,202; 4,131] 0,5433
2			
n/N (%)	42/43 (98)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,83 (4,117)	-0,78 (3,463)	-0,01 [-0,564; 0,540]
LS MW (SE)	-0,58 (0,573)	-1,37 (0,889)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-1,731; 0,570	-3,152; 0,416	0,79 [-1,368; 2,944] 0,4665
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	40/42 (95)	16/17 (94)	Hedges` g
MW (SD)	-1,14 (4,713)	-1,99 (4,527)	0,18 [-0,401; 0,761]
LS MW (SE)	-1,17 (0,726)	-1,93 (1,169)	LS MD
95 %-KI	-2,627; 0,294	-4,285; 0,417	0,77 [-2,048; 3,582] 0,5862
2			
n/N (%)	42/43 (98)	20/21 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,43 (3,930)	-0,85 (5,197)	0,10 [-0,436; 0,629]
LS MW (SE)	-0,28 (0,712)	-1,16 (1,062)	LS MD
95 %-KI	-1,711; 1,144	-3,289; 0,970	0,88 [-1,778; 3,530] 0,5109
Änderung zu Woche 52			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	33/36 (92)	19/20 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-1,34 (4,089)	-0,59 (4,565)	-0,17 [-0,737; 0,394]
LS MW (SE)	-1,24 (0,737)	-0,77 (0,989)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
<b>N</b>	<b>85</b>	<b>38</b>	-
95 %-KI	-2,725; 0,243	-2,757; 1,226	-0,48 [-3,036; 2,084] 0,7098
<b>2</b>			
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,16 (3,780)	-2,97 (3,398)	0,84 [0,281; 1,401]
LS MW (SE)	0,14 (0,534)	-2,90 (0,901)	LS MD
95 %-KI	-0,932; 1,204	-4,700; -1,096	3,03 [0,900; 5,168] 0,0061
<b>03</b>			
<b>1</b>			
n/N (%)	16/16 (100)	10/11 (91)	Hedges` g
MW (SD)	-1,93 (3,968)	-2,91 (4,939)	0,22 [-0,574; 1,012]
LS MW (SE)	-2,26 (0,949)	-2,37 (1,239)	LS MD
95 %-KI	-4,258; -0,269	-4,971; 0,235	0,10 [-3,378; 3,587] 0,9504
<b>2</b>			
n/N (%)	41/43 (95)	12/12 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,11 (4,126)	-0,32 (3,941)	0,10 [-0,540; 0,748]
LS MW (SE)	0,10 (0,637)	-0,28 (1,185)	LS MD
95 %-KI	-1,180; 1,388	-2,668; 2,106	0,38 [-2,335; 3,105] 0,7770
<b>3</b>			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Alglucosidade alfa/Placebo	
N	85	38	-
n/N (%)	25/26 (96)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,40 (3,538)	-2,13 (3,713)	0,47 [-0,181; 1,118]
LS MW (SE)	-0,42 (0,758)	-2,11 (0,995)	LS MD
95 %-KI	-1,960; 1,127	-4,134; -0,078	1,69 [-0,941; 4,320] 0,2001
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	40/42 (95)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	0,25 (3,897)	-2,88 (4,602)	0,75 [0,175; 1,323]
LS MW (SE)	0,17 (0,684)	-2,70 (1,051)	LS MD
95 %-KI	-1,202; 1,548	-4,812; -0,590	2,87 [0,273; 5,475] 0,0310
2			
n/N (%)	42/43 (98)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-1,10 (3,937)	-0,68 (3,489)	-0,11 [-0,651; 0,434]
LS MW (SE)	-0,87 (0,540)	-1,21 (0,813)	LS MD
95 %-KI	-1,948; 0,218	-2,838; 0,422	0,34 [-1,641; 2,326] 0,7301
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	40/42 (95)	16/17 (94)	Hedges` g
MW (SD)	-0,45 (3,926)	-2,36 (4,219)	0,47 [-0,119; 1,055]

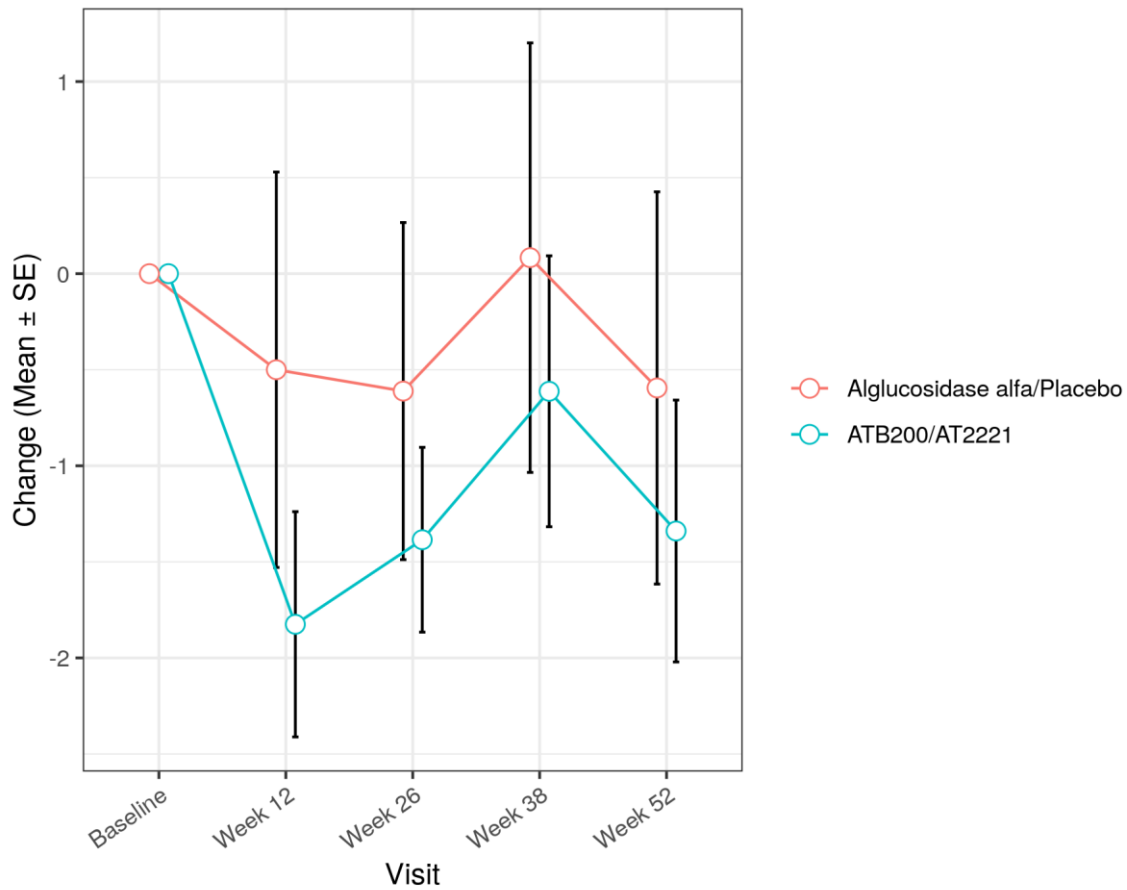
PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
LS MW (SE)	-0,37 (0,617)	-2,56 (0,993)	LS MD
95 %-KI	-1,611; 0,870	-4,559; -0,564	2,19 [-0,201; 4,582] 0,0717
2			
n/N (%)	42/43 (98)	21/21 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,43 (4,025)	-1,29 (4,161)	0,21 [-0,317; 0,734]
LS MW (SE)	-0,37 (0,611)	-1,41 (0,886)	LS MD
95 %-KI	-1,595; 0,856	-3,189; 0,361	1,04 [-1,180; 3,270] 0,3508
<p><sup>a</sup>Die Veränderung der Punktwerte gegenüber Baseline plus 95 %-KI und p-Wert zu jedem spezifizierten Zeitpunkt wurden mit einer ANCOVA, stratifiziert nach Geschlecht, Alter, Gewicht und Größe zu Baseline und ERT-Status mit dem Baseline-Wert der jeweiligen Skala als Kovariate auf Basis der Mittelwerte der kleinsten Quadrate analysiert.durch die gepoolte Standardabweichung.</p> <p>ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; LS MD: Mittelwertdifferenz der kleinsten Quadrate; LS MW (SE): Mittelwert der kleinsten Quadrate (Standardfehler); MW (SD): Mittelwert (Standardabweichung); N: Patienten mit Baselinewert; n: Anzahl der Patienten mit Baselinewert in der Analyse</p>			



**35.7.1.05.03.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Dyspnoe (10a): Mittelwertveränderungsplots der Subgruppen**

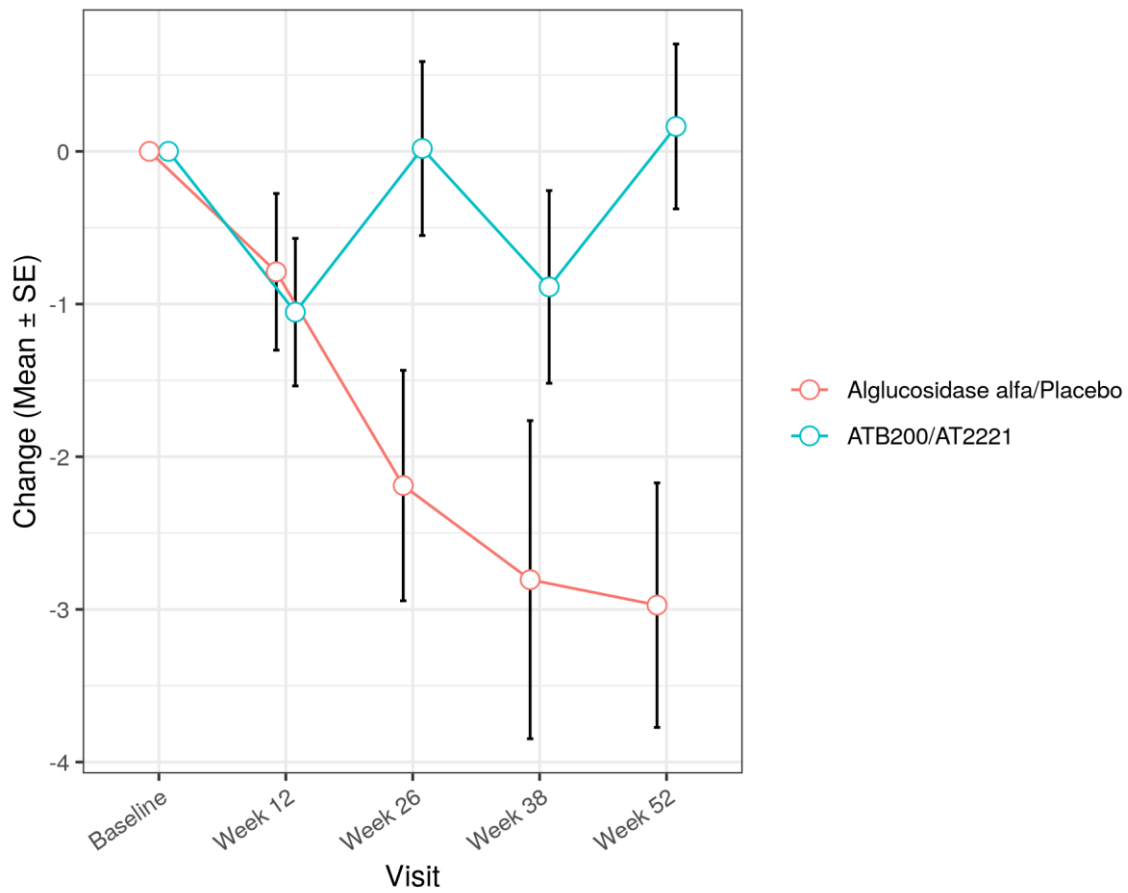
**35.7.1.05.03.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Dyspnoe (10a) Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 01\_1**

35.7.1.05.03 01\_1



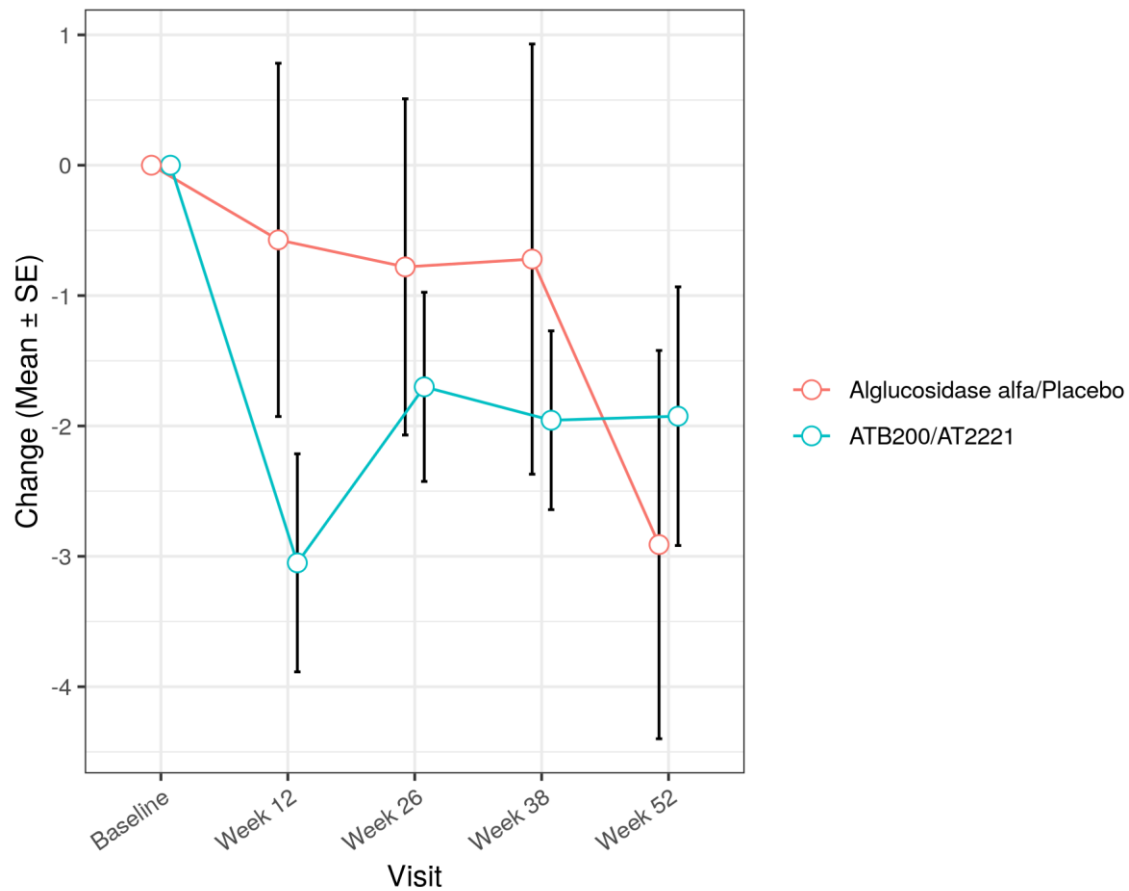
**35.7.1.05.03.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Dyspnoe (10a)  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 01\_2**

35.7.1.05.03 01\_2



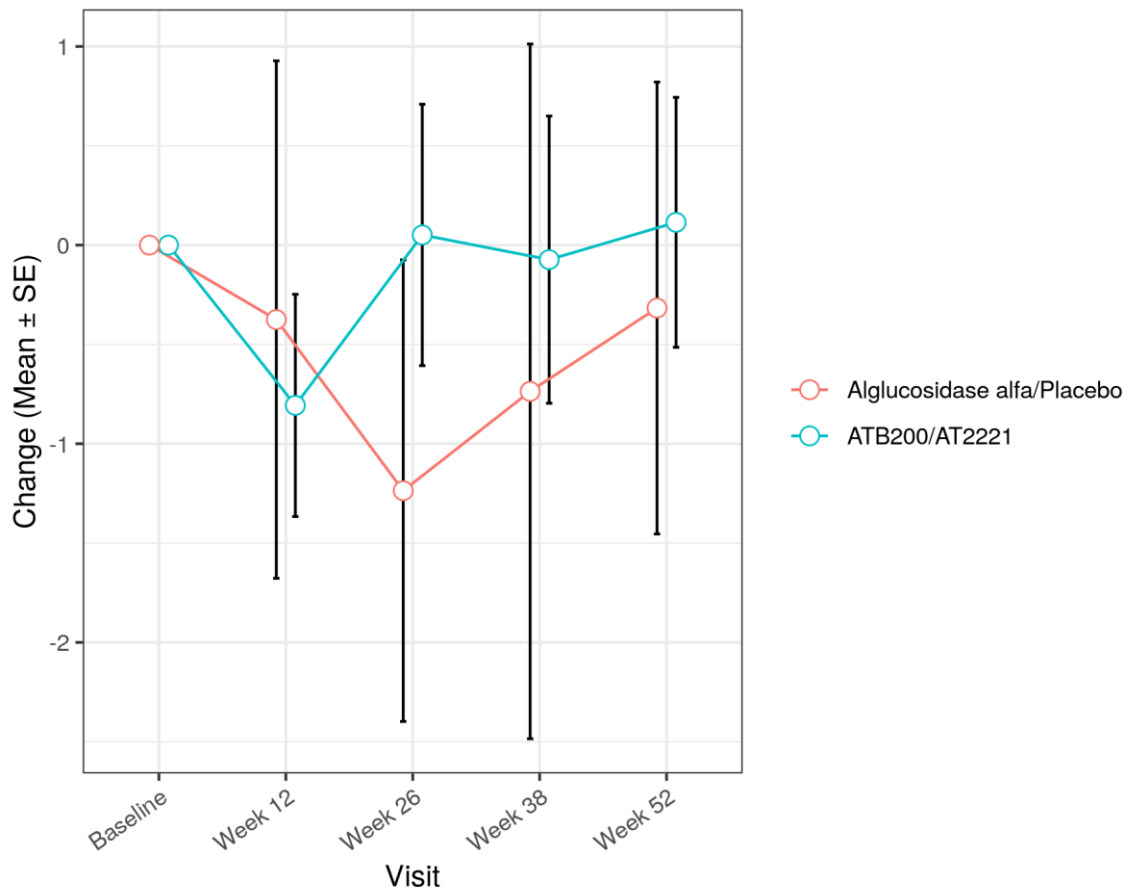
**35.7.1.05.03.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Dyspnoe (10a)  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 03\_1**

35.7.1.05.03 03\_1



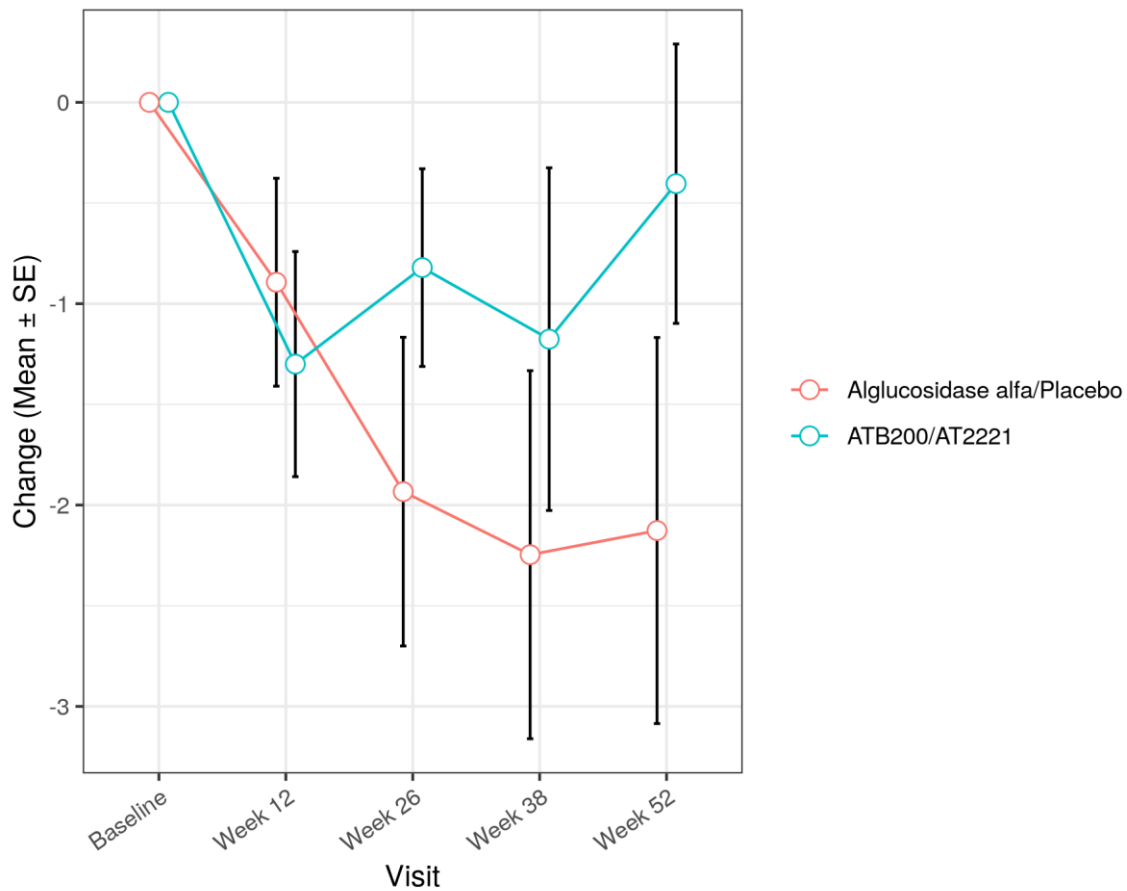
**35.7.1.05.03.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Dyspnoe (10a)  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 03\_2**

35.7.1.05.03 03\_2



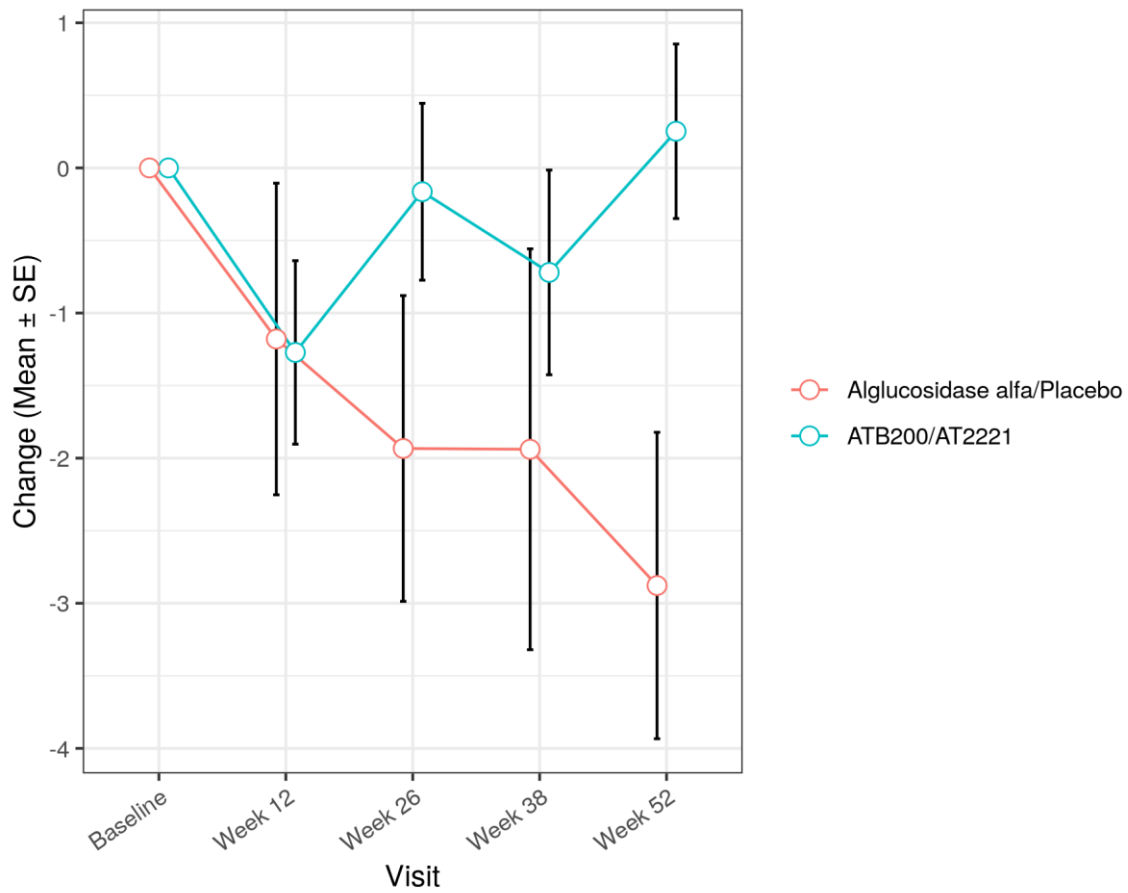
**35.7.1.05.03.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Dyspnoe (10a)  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 03\_3**

35.7.1.05.03 03\_3



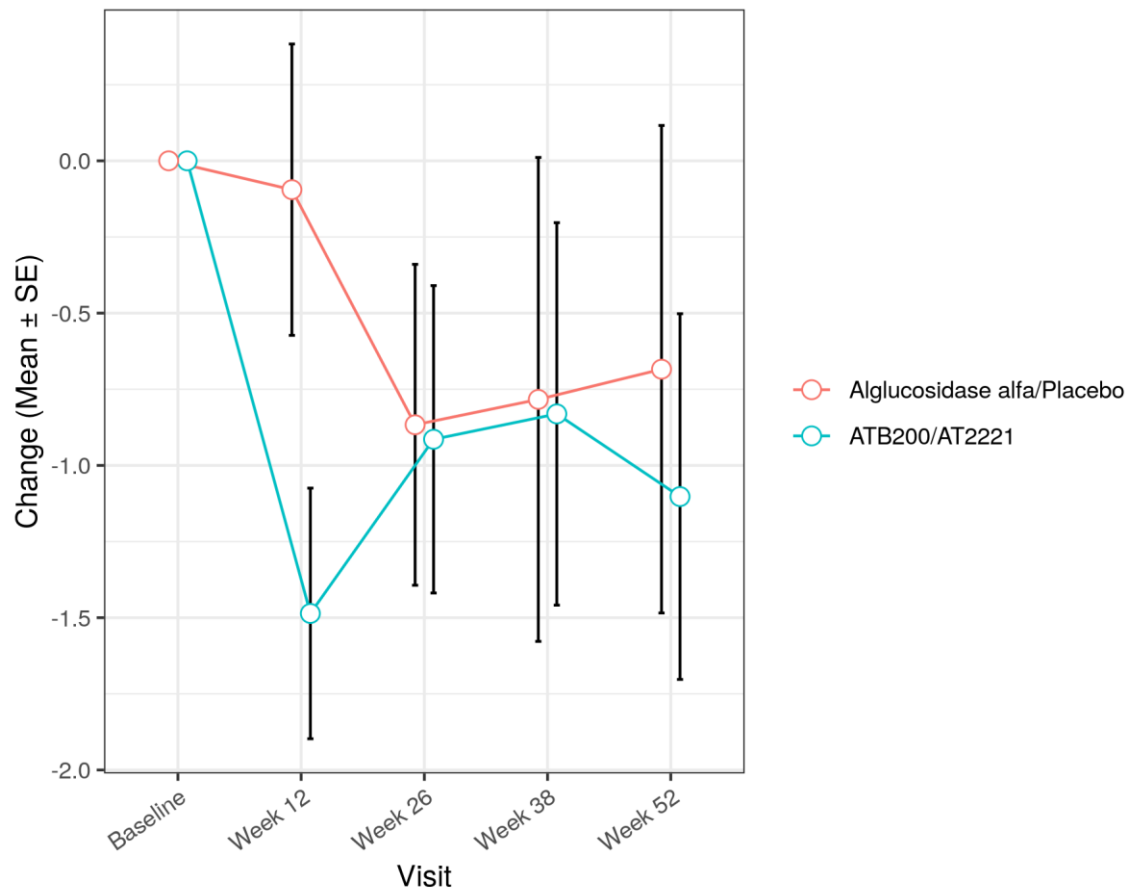
**35.7.1.05.03.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Dyspnoe (10a)**  
**Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 07\_1**

35.7.1.05.03 07\_1



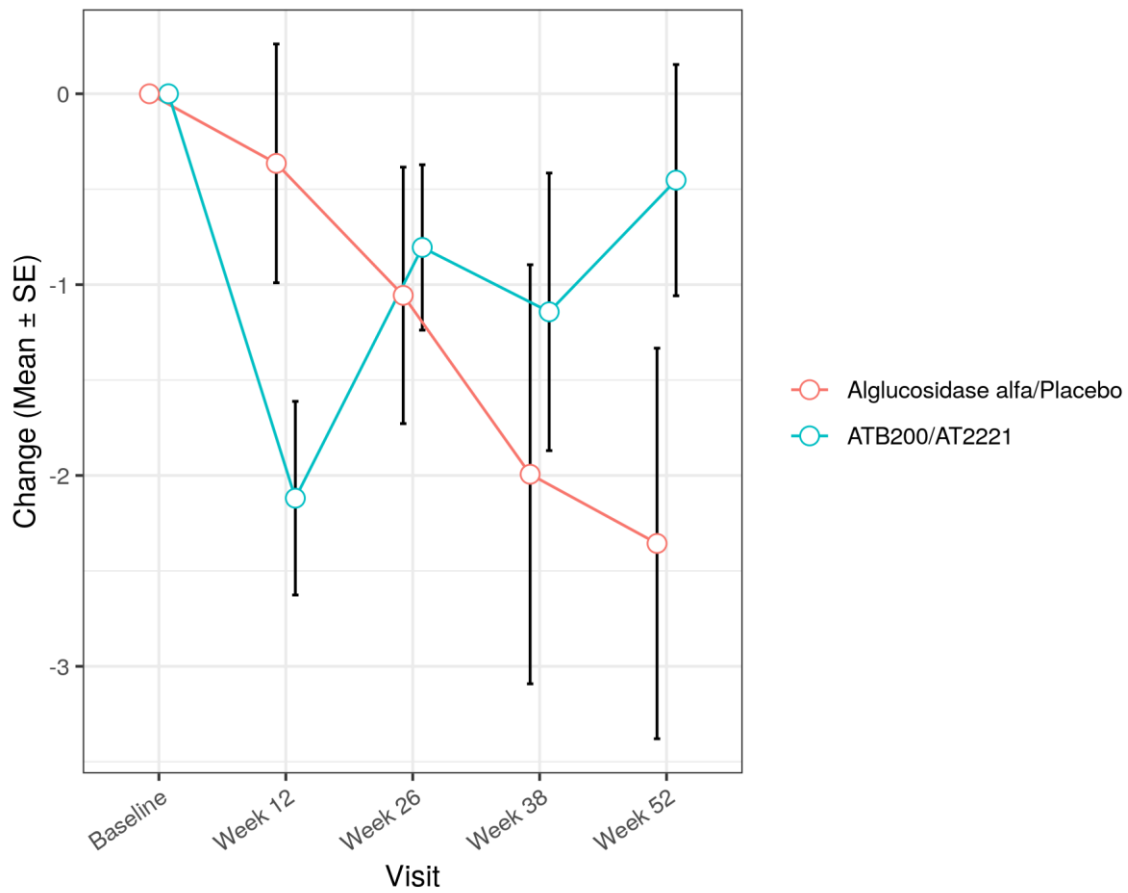
**35.7.1.05.03.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Dyspnoe (10a)  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 07\_2**

35.7.1.05.03 07\_2



**35.7.1.05.03.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Dyspnoe (10a)  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 08\_1**

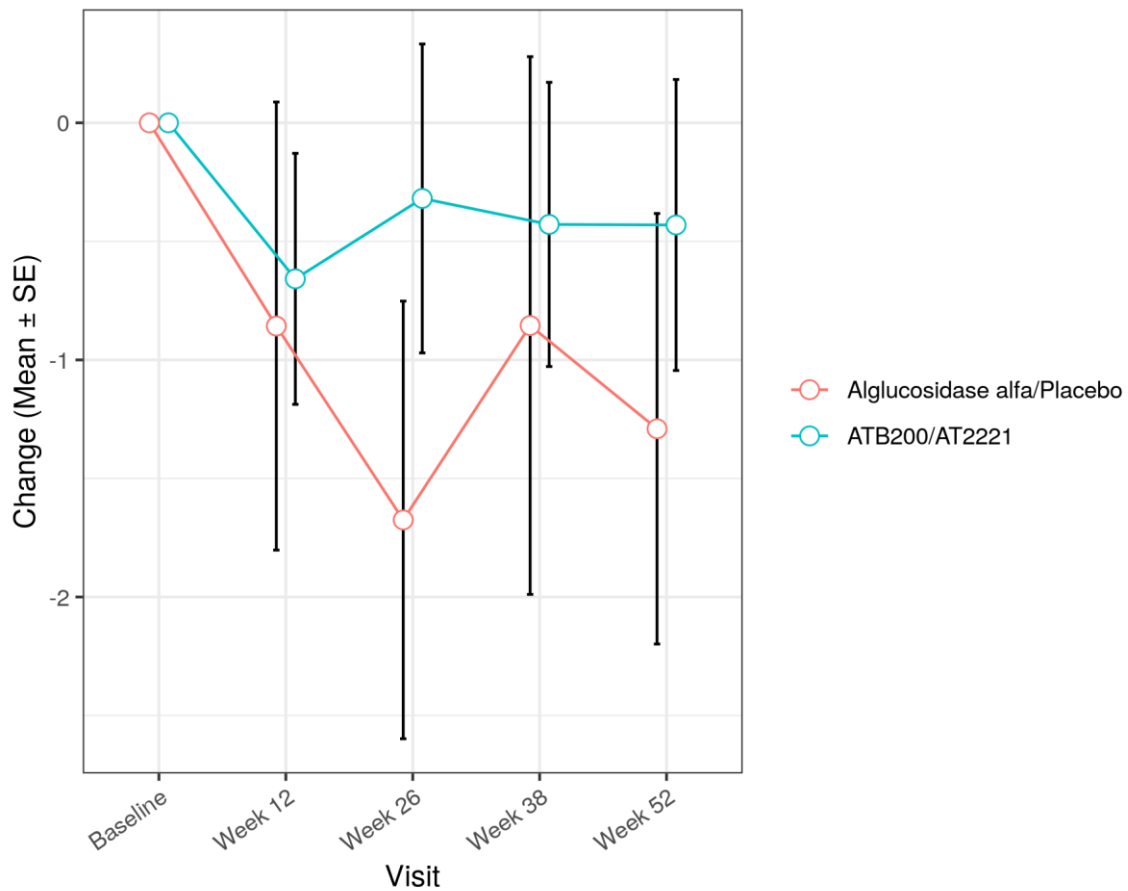
35.7.1.05.03 08\_1





**35.7.1.05.03.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Dyspnoe (10a)  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 08\_2**

35.7.1.05.03 08\_2



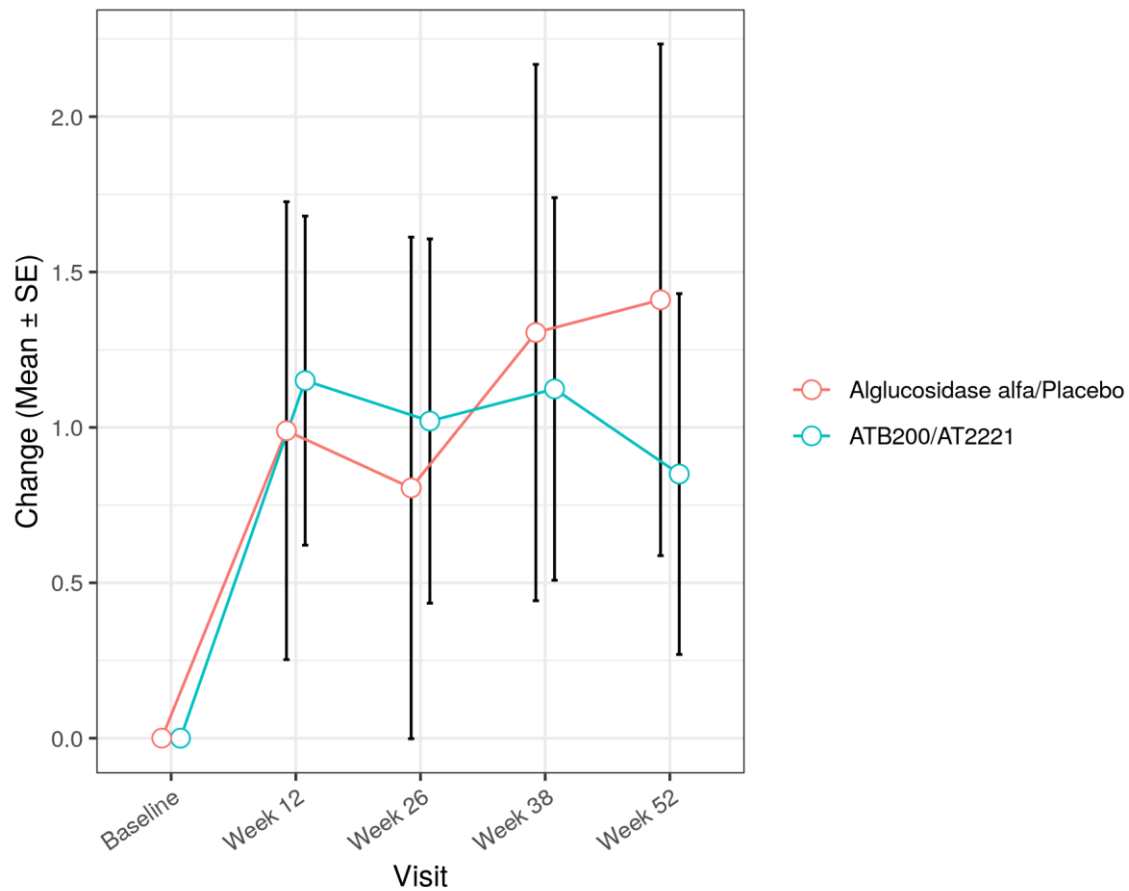
**35.7.1.05.04.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Obere Extremitäten (7a)****35.7.1.05.04.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Obere Extremitäten (7a): Analyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidas- e alfa/ Miglustat	Algluco- sidas- e alfa/ Placebo	
N	85	38	-
<b>Veränderung des PROMIS-Wertes Obere Extremitäten (7a)</b>			
<b>Baseline</b>			
n/N (%)	84/85 (99)	38/38 (100)	-
MW (SD)	23,35 (5,383)	23,17 (6,294)	
<b>Änderung zu Woche 12</b>			
n/N (%)	79/85 (93)	38/38 (100)	Hedges` g 0,03 [-0,353; 0,420] 0,8651
MW (SD)	1,15 (4,882)	0,99 (4,541)	
LS MW (SE)	1,26 (0,510)	0,76 (0,745)	LS MD 0,50 [-1,316; 2,325] 0,5840
95 %-KI	0,251; 2,273	-0,720; 2,235	
<b>Änderung zu Woche 26</b>			
n/N (%)	83/85 (98)	38/38 (100)	Hedges` g 0,04 [-0,343; 0,424] 0,8360
MW (SD)	1,02 (5,403)	0,81 (4,975)	
LS MW (SE)	1,21 (0,538)	0,38 (0,806)	LS MD 0,83 [-1,116; 2,782] 0,3989
95 %-KI	0,148; 2,281	-1,216; 1,978	
<b>Änderung zu Woche 38</b>			
n/N (%)	84/85 (99)	38/38 (100)	Hedges` g -0,03 [-0,416; 0,351] 0,8684
MW (SD)	1,12 (5,675)	1,31 (5,319)	
LS MW (SE)	1,29 (0,577)	0,94 (0,869)	

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	0,148; 2,434	-0,787; 2,658	LS MD 0,36 [-1,743; 2,454] 0,7379
<b>Änderung zu Woche 52</b>			
n/N (%)	84/85 (99)	38/38 (100)	Hedges` g -0,11 [-0,489; 0,278] 0,5889
MW (SD)	0,85 (5,352)	1,41 (5,075)	
LS MW (SE)	1,00 (0,548)	1,09 (0,825)	LS MD -0,09 [-2,085; 1,898] 0,9263
95 %-KI	-0,089; 2,080	-0,546; 2,724	
<p><sup>a</sup>Die Veränderung der Punktwerte gegenüber Baseline plus 95 %-KI und p-Wert zu jedem spezifizierten Zeitpunkt wurden mit einer ANCOVA, stratifiziert nach Geschlecht, Alter, Gewicht und Größe zu Baseline und ERT-Status mit dem Baseline-Wert der jeweiligen Skala als Kovariate auf Basis der Mittelwerte der kleinsten Quadrate analysiert. Das Effektmaß Hedges` g ist die Differenz der Mittelwerte geteilt durch die gepoolte Standardabweichung.</p> <p>ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; LS MD: Mittelwertdifferenz der kleinsten Quadrate; LS MW (SE): Mittelwert der kleinsten Quadrate (Standardfehler); MW (SD): Mittelwert (Standardabweichung); N: Patienten mit Baselinewert; n: Anzahl der Patienten mit Baselinewert in der Analyse</p>			

**35.7.1.05.04.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Obere Extremitäten (7a)  
Mittelwertveränderungsplot**

35.7.1.05.04



**35.7.1.05.04.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Obere Extremitäten (7a): Interaktionstest**

<b>Veränderung des PROMIS-Wertes Obere Extremitäten (7a): Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,1951
02	0,0002
03	0,6301
04	0,6156
05	0,1019
06	0,2655
07	0,3001
08	0,5134
09	0,0752
10	0,0046

*<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.*

*In dem Interaktionstest bei Subgruppe 09 ERT-Dauer wird die Variable ERT-Status aus dem Model entfernt, da es keine Dauer der ERT Behandlung für ERT naïve Patienten gibt*

**35.7.1.05.04.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Obere Extremitäten (7a): Subgruppenanalyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>Veränderung des PROMIS-Wertes Obere Extremitäten (7a)</b>			
Baseline-Werte			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	36/36 (100)	20/20 (100)	-
MW (SD)	24,46 (5,109)	22,48 (5,753)	
2			
n/N (%)	48/49 (98)	18/18 (100)	-
MW (SD)	22,52 (5,484)	23,94 (6,930)	
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	-
MW (SD)	22,68 (4,358)	22,68 (3,006)	
2			
n/N (%)	42/43 (98)	12/12 (100)	-
MW (SD)	22,97 (4,744)	21,16 (6,813)	
3			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	-
MW (SD)	24,38 (6,800)	25,13 (7,347)	
<b>07</b>			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
<b>N</b>	<b>85</b>	<b>38</b>	-
1			
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	-
MW (SD)	21,70 (4,796)	21,18 (5,811)	
2			
n/N (%)	42/43 (98)	19/19 (100)	-
MW (SD)	25,00 (5,483)	25,15 (6,273)	
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	-
MW (SD)	22,36 (5,578)	21,35 (4,866)	
2			
n/N (%)	42/43 (98)	21/21 (100)	-
MW (SD)	24,35 (5,051)	24,64 (7,017)	
Änderung zu Woche 12			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	34/36 (94)	20/20 (100)	Hedges` g
MW (SD)	1,59 (4,929)	2,22 (4,478)	-0,13 [-0,685; 0,421]
LS MW (SE)	1,81 (0,737)	1,85 (0,983)	LS MD
95 %-KI	0,324; 3,289	-0,128; 3,826	-0,04 [-2,611; 2,526] 0,9737
2			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Alglucosidade alfa/Placebo	
N	85	38	-
n/N (%)	45/49 (92)	18/18 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,82 (4,875)	-0,38 (4,322)	0,25 [-0,297; 0,800]
LS MW (SE)	0,58 (0,705)	0,22 (1,149)	LS MD
95 %-KI	-0,830; 1,995	-2,084; 2,517	0,37 [-2,409; 3,140] 0,7927
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	15/16 (94)	11/11 (100)	Hedges` g
MW (SD)	2,43 (3,810)	1,68 (6,310)	0,14 [-0,635; 0,923]
LS MW (SE)	3,10 (1,159)	0,76 (1,379)	LS MD
95 %-KI	0,667; 5,539	-2,138; 3,657	2,34 [-1,656; 6,343] 0,2342
2			
n/N (%)	38/43 (88)	12/12 (100)	Hedges` g
MW (SD)	1,62 (5,745)	1,67 (4,884)	-0,01 [-0,659; 0,639]
LS MW (SE)	1,85 (0,877)	0,93 (1,583)	LS MD
95 %-KI	0,083; 3,623	-2,263; 4,126	0,92 [-2,766; 4,610] 0,6166
3			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,27 (3,737)	-0,07 (2,314)	-0,06 [-0,696; 0,575]
LS MW (SE)	-0,24 (0,650)	-0,11 (0,871)	LS MD



PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-1,564; 1,079	-1,884; 1,659	-0,13 [-2,408; 2,147] 0,9081
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	40/42 (95)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,12 (4,385)	0,66 (4,391)	-0,17 [-0,722; 0,372]
LS MW (SE)	-0,06 (0,637)	0,53 (0,948)	LS MD
95 %-KI	-1,338; 1,219	-1,373; 2,434	-0,59 [-2,953; 1,773] 0,6185
2			
n/N (%)	39/43 (91)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	2,45 (5,074)	1,32 (4,784)	0,22 [-0,326; 0,774]
LS MW (SE)	2,51 (0,786)	1,20 (1,133)	LS MD
95 %-KI	0,937; 4,093	-1,080; 3,472	1,32 [-1,475; 4,113] 0,3475
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	40/42 (95)	17/17 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,04 (4,422)	-0,17 (3,280)	0,03 [-0,535; 0,600]
LS MW (SE)	0,06 (0,622)	-0,40 (0,966)	LS MD
95 %-KI	-1,189; 1,310	-2,336; 1,545	0,46 [-1,882; 2,793] 0,6968

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglicosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
2			
n/N (%)	39/43 (91)	21/21 (100)	Hedges` g
MW (SD)	2,37 (5,084)	1,93 (5,242)	0,08 [-0,447; 0,615]
LS MW (SE)	2,42 (0,829)	1,83 (1,151)	LS MD
95 %-KI	0,758; 4,085	-0,483; 4,135	0,60 [-2,328; 3,519] 0,6845
Änderung zu Woche 26			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	35/36 (97)	20/20 (100)	Hedges` g
MW (SD)	1,79 (4,841)	1,52 (5,332)	0,05 [-0,498; 0,601]
LS MW (SE)	2,16 (0,765)	0,88 (1,036)	LS MD
95 %-KI	0,620; 3,697	-1,204; 2,960	1,28 [-1,407; 3,968] 0,3430
2			
n/N (%)	48/49 (98)	18/18 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,46 (5,764)	0,01 (4,562)	0,08 [-0,460; 0,624]
LS MW (SE)	0,24 (0,750)	0,60 (1,254)	LS MD
95 %-KI	-1,262; 1,739	-1,912; 3,107	-0,36 [-3,343; 2,626] 0,8107
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	1,44 (4,951)	1,50 (7,255)	-0,01 [-0,777; 0,759]
LS MW (SE)	2,30 (1,423)	0,25 (1,756)	LS MD
95 %-KI	-0,674; 5,282	-3,427; 3,923	2,06 [-2,948; 7,060] 0,4005
2			
n/N (%)	41/43 (95)	12/12 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,97 (6,251)	1,17 (4,680)	-0,03 [-0,678; 0,609]
LS MW (SE)	1,23 (0,845)	0,26 (1,585)	LS MD
95 %-KI	-0,468; 2,936	-2,935; 3,449	0,98 [-2,674; 4,628] 0,5925
3			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,85 (4,287)	0,00 (3,071)	0,21 [-0,424; 0,850]
LS MW (SE)	1,08 (0,749)	-0,41 (1,004)	LS MD
95 %-KI	-0,439; 2,609	-2,457; 1,629	1,50 [-1,127; 4,125] 0,2538
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,37 (4,923)	-0,29 (5,005)	-0,02 [-0,557; 0,526]
LS MW (SE)	-0,14 (0,671)	-0,79 (1,022)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-1,485; 1,206	-2,841; 1,256	0,65 [-1,863; 3,170] 0,6047
2			
n/N (%)	41/43 (95)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	2,44 (5,560)	1,90 (4,827)	0,10 [-0,444; 0,644]
LS MW (SE)	2,48 (0,802)	1,81 (1,187)	LS MD
95 %-KI	0,873; 4,092	-0,569; 4,193	0,67 [-2,228; 3,568] 0,6448
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,17 (5,246)	-0,11 (4,843)	-0,01 [-0,574; 0,553]
LS MW (SE)	0,01 (0,734)	-0,56 (1,169)	LS MD
95 %-KI	-1,460; 1,489	-2,906; 1,788	0,57 [-2,232; 3,379] 0,6832
2			
n/N (%)	41/43 (95)	21/21 (100)	Hedges` g
MW (SD)	2,24 (5,351)	1,55 (5,073)	0,13 [-0,397; 0,656]
LS MW (SE)	2,37 (0,819)	1,29 (1,164)	LS MD
95 %-KI	0,724; 4,010	-1,040; 3,626	1,07 [-1,843; 3,991] 0,4636
Änderung zu Woche 38			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	36/36 (100)	20/20 (100)	Hedges` g
MW (SD)	1,56 (5,845)	1,97 (4,945)	-0,07 [-0,620; 0,474]
LS MW (SE)	2,01 (0,822)	1,16 (1,131)	LS MD
95 %-KI	0,363; 3,666	-1,108; 3,436	0,85 [-2,068; 3,769] 0,5609
2			
n/N (%)	48/49 (98)	18/18 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,79 (5,583)	0,56 (5,757)	0,04 [-0,501; 0,583]
LS MW (SE)	0,64 (0,796)	0,96 (1,332)	LS MD
95 %-KI	-0,949; 2,238	-1,707; 3,624	-0,31 [-3,483; 2,856] 0,8437
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges` g
MW (SD)	1,88 (5,424)	1,41 (7,036)	0,07 [-0,693; 0,843]
LS MW (SE)	2,65 (1,450)	0,29 (1,789)	LS MD
95 %-KI	-0,387; 5,683	-3,452; 4,039	2,35 [-2,745; 7,454] 0,3460
2			
n/N (%)	42/43 (98)	12/12 (100)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	1,13 (6,445)	1,51 (5,540)	-0,06 [-0,702; 0,582]
LS MW (SE)	1,36 (0,940)	0,69 (1,784)	LS MD
95 %-KI	-0,532; 3,252	-2,901; 4,282	0,67 [-3,427; 4,765] 0,7437
3			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,65 (4,534)	1,07 (3,900)	-0,09 [-0,730; 0,542]
LS MW (SE)	0,85 (0,864)	0,73 (1,158)	LS MD
95 %-KI	-0,912; 2,603	-1,621; 3,091	0,11 [-2,918; 3,140] 0,9412
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,46 (4,588)	0,87 (5,499)	-0,27 [-0,813; 0,275]
LS MW (SE)	-0,25 (0,674)	0,41 (1,027)	LS MD
95 %-KI	-1,605; 1,100	-1,654; 2,465	-0,66 [-3,187; 1,872] 0,6044
2			
n/N (%)	42/43 (98)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	2,71 (6,244)	1,74 (5,246)	0,16 [-0,382; 0,703]
LS MW (SE)	2,71 (0,887)	1,73 (1,329)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	0,935; 4,493	-0,934; 4,397	0,98 [-2,249; 4,214] 0,5444
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,02 (5,762)	0,30 (5,502)	-0,05 [-0,611; 0,516]
LS MW (SE)	0,12 (0,851)	0,05 (1,354)	LS MD
95 %-KI	-1,583; 1,832	-2,668; 2,769	0,07 [-3,175; 3,323] 0,9636
2			
n/N (%)	42/43 (98)	21/21 (100)	Hedges` g
MW (SD)	2,22 (5,433)	2,12 (5,155)	0,02 [-0,504; 0,543]
LS MW (SE)	2,37 (0,813)	1,84 (1,169)	LS MD
95 %-KI	0,736; 3,994	-0,507; 4,179	0,53 [-2,389; 3,447] 0,7177
Änderung zu Woche 52			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	36/36 (100)	20/20 (100)	Hedges` g
MW (SD)	1,48 (5,050)	2,57 (5,389)	-0,21 [-0,757; 0,339]
LS MW (SE)	1,87 (0,817)	1,87 (1,124)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	0,230; 3,513	-0,387; 4,128	0,00 [-2,899; 2,902] 0,9993
2			
n/N (%)	48/49 (98)	18/18 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,38 (5,574)	0,12 (4,497)	0,05 [-0,493; 0,590]
LS MW (SE)	0,26 (0,758)	0,42 (1,268)	LS MD
95 %-KI	-1,255; 1,778	-2,113; 2,963	-0,16 [-3,181; 2,854] 0,9140
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges` g
MW (SD)	2,07 (5,379)	1,77 (7,091)	0,05 [-0,721; 0,815]
LS MW (SE)	2,84 (1,387)	0,65 (1,712)	LS MD
95 %-KI	-0,064; 5,744	-2,932; 4,234	2,19 [-2,690; 7,068] 0,3595
2			
n/N (%)	42/43 (98)	12/12 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,75 (6,048)	2,17 (4,732)	-0,24 [-0,886; 0,400]
LS MW (SE)	0,95 (0,842)	1,44 (1,599)	LS MD
95 %-KI	-0,741; 2,650	-1,776; 4,662	-0,49 [-4,159; 3,183] 0,7902
3			

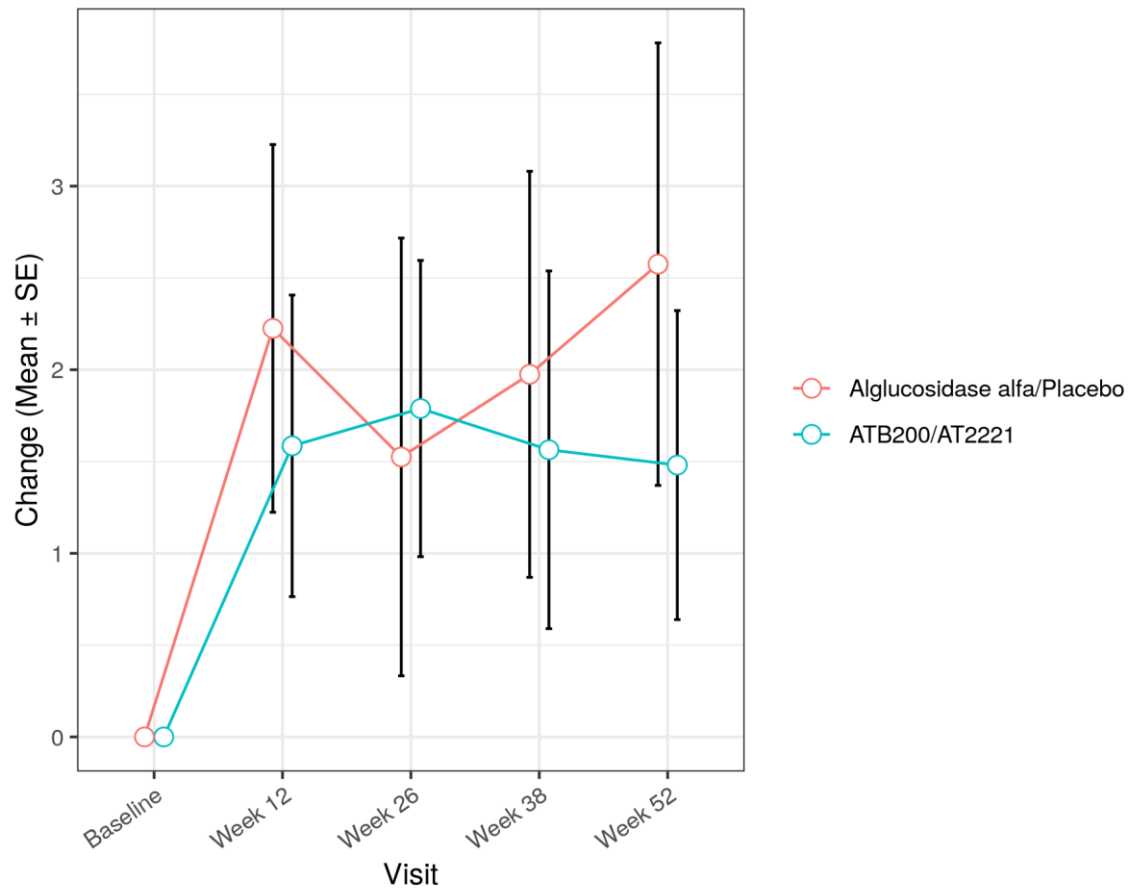


PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,27 (4,055)	0,53 (3,623)	-0,07 [-0,702; 0,569]
LS MW (SE)	0,48 (0,805)	0,16 (1,078)	LS MD
95 %-KI	-1,154; 2,120	-2,031; 2,357	0,32 [-2,500; 3,141] 0,8186
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,41 (4,844)	0,29 (5,375)	-0,14 [-0,681; 0,404]
LS MW (SE)	-0,20 (0,701)	-0,18 (1,068)	LS MD
95 %-KI	-1,607; 1,206	-2,326; 1,958	-0,02 [-2,647; 2,614] 0,9899
2			
n/N (%)	42/43 (98)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	2,11 (5,591)	2,53 (4,625)	-0,08 [-0,620; 0,465]
LS MW (SE)	2,12 (0,804)	2,53 (1,204)	LS MD
95 %-KI	0,505; 3,729	0,110; 4,940	-0,41 [-3,336; 2,520] 0,7811
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,33 (5,347)	-0,05 (4,985)	-0,05 [-0,616; 0,511]

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
LS MW (SE)	-0,19 (0,769)	-0,40 (1,224)	LS MD
95 %-KI	-1,734; 1,352	-2,861; 2,052	0,21 [-2,722; 3,150] 0,8843
2			
n/N (%)	42/43 (98)	21/21 (100)	Hedges` g
MW (SD)	2,03 (5,151)	2,60 (4,947)	-0,11 [-0,633; 0,415]
LS MW (SE)	2,10 (0,787)	2,45 (1,133)	LS MD
95 %-KI	0,526; 3,682	0,183; 4,723	-0,35 [-3,175; 2,478] 0,8056
<p><sup>a</sup>Die Veränderung der Punktwerte gegenüber Baseline plus 95 %-KI und p-Wert zu jedem spezifizierten Zeitpunkt wurden mit einer ANCOVA, stratifiziert nach Geschlecht, Alter, Gewicht und Größe zu Baseline und ERT-Status mit dem Baseline-Wert der jeweiligen Skala als Kovariate auf Basis der Mittelwerte der kleinsten Quadrate analysiert.durch die gepoolte Standardabweichung.</p> <p>ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; LS MD: Mittelwertdifferenz der kleinsten Quadrate; LS MW (SE): Mittelwert der kleinsten Quadrate (Standardfehler); MW (SD): Mittelwert (Standardabweichung); N: Patienten mit Baselinewert; n: Anzahl der Patienten mit Baselinewert in der Analyse</p>			

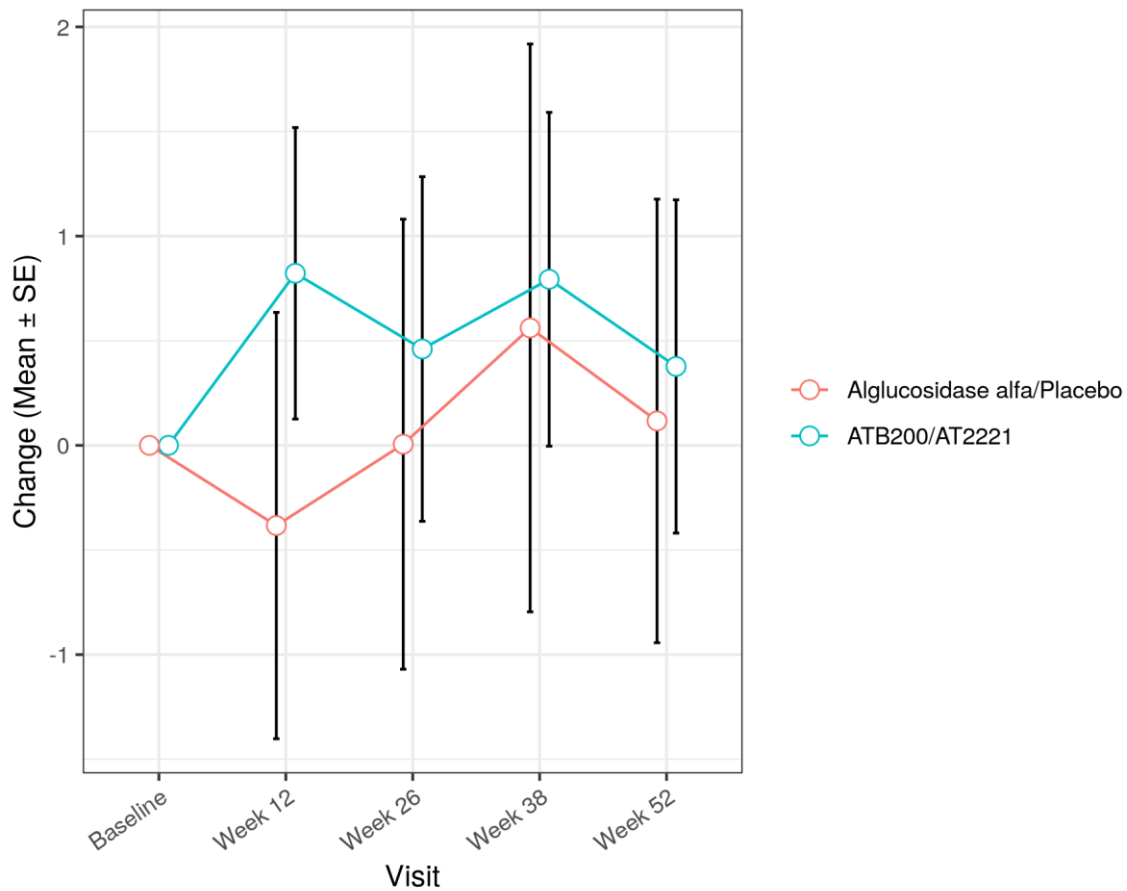
**35.7.1.05.04.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Obere Extremitäten (7a): Mittelwertveränderungsplots der Subgruppen****35.7.1.05.04.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Obere Extremitäten (7a) Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 01\_1**

35.7.1.05.04 01\_1



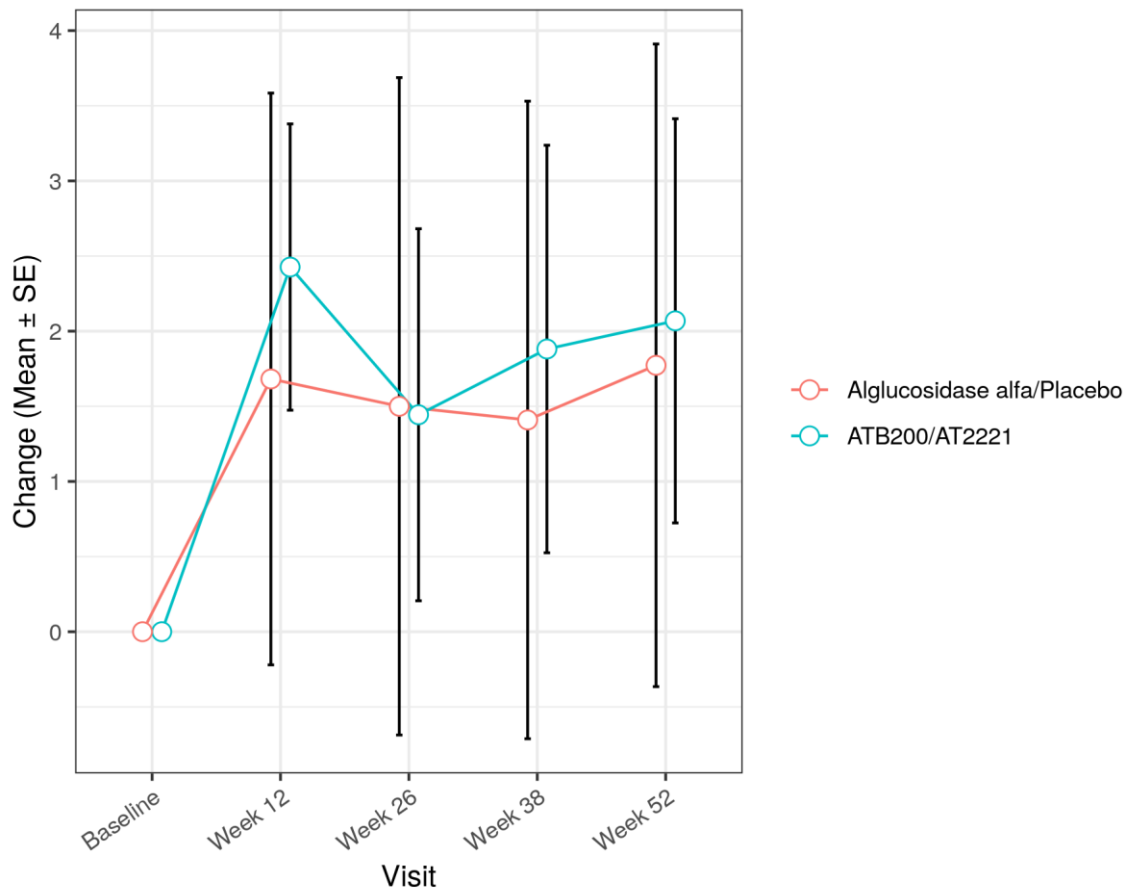
**35.7.1.05.04.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Obere Extremitäten (7a)  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 01\_2**

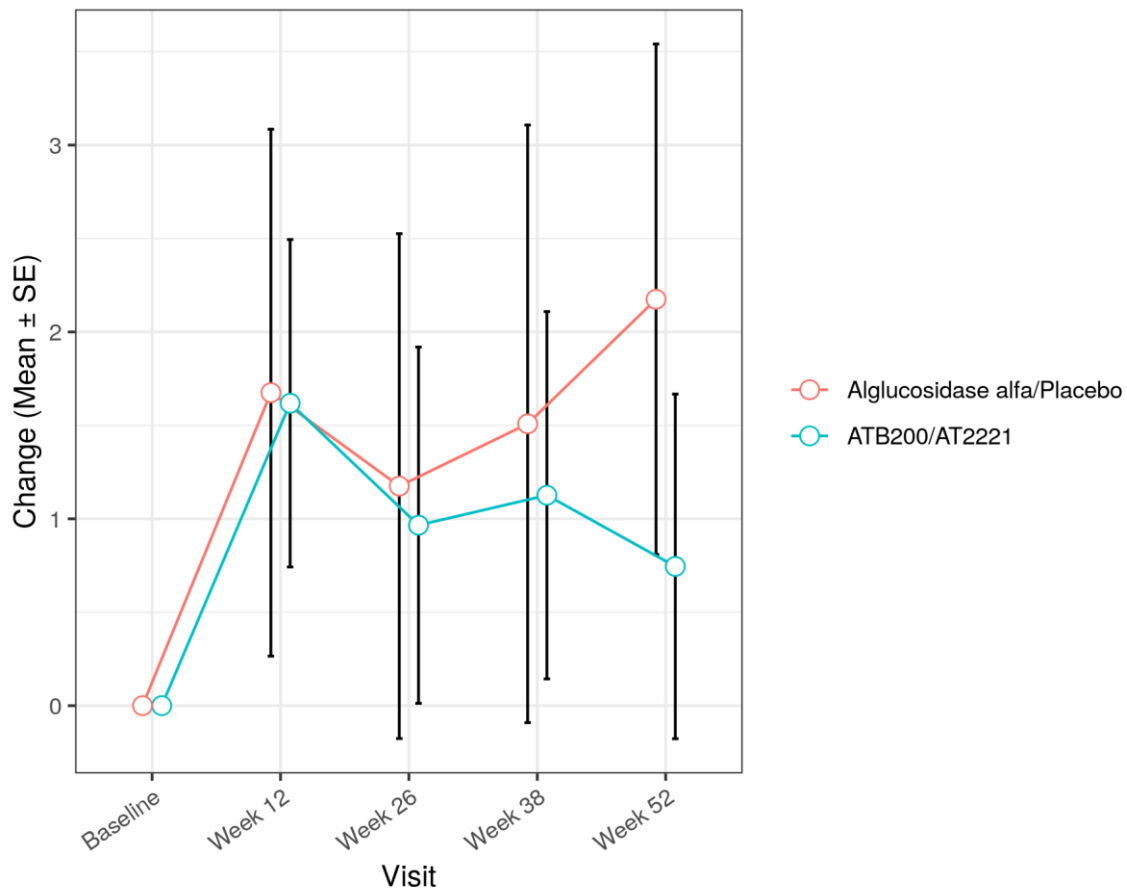
35.7.1.05.04 01\_2

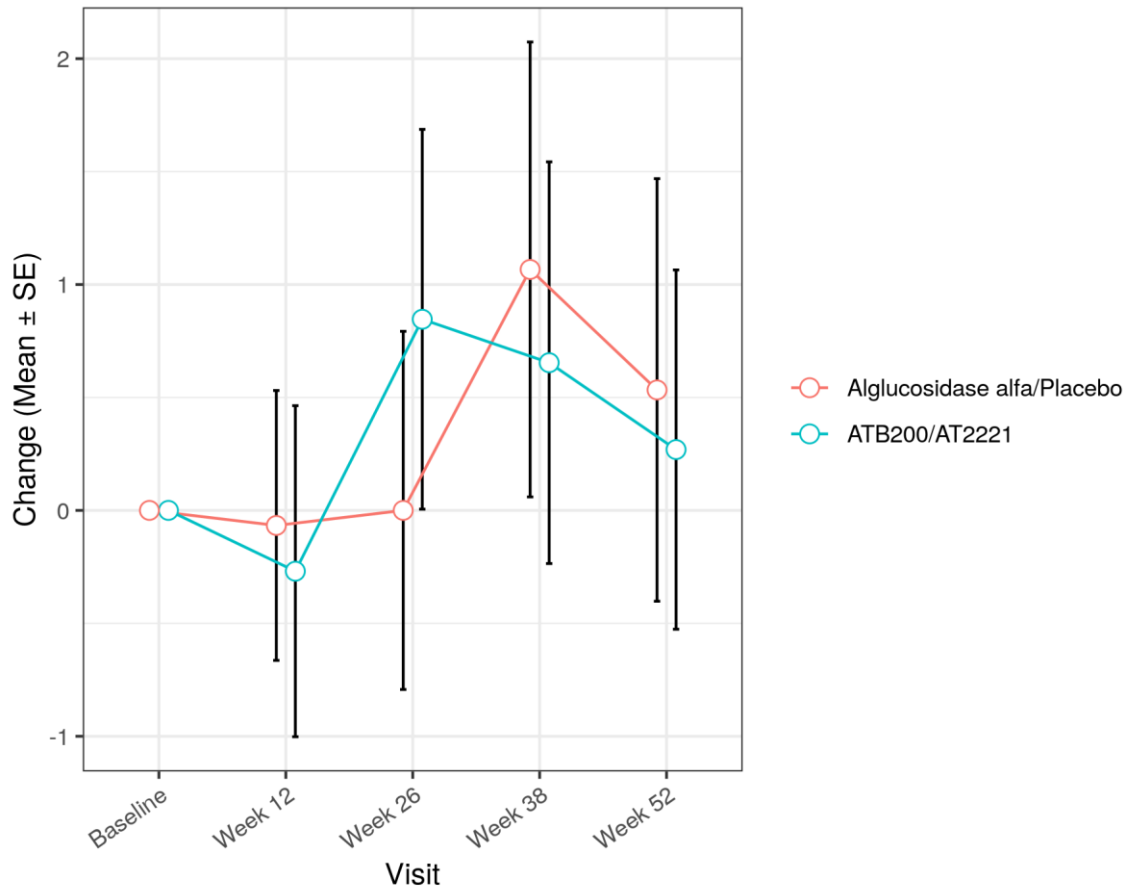


**35.7.1.05.04.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Obere Extremitäten (7a)  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 03\_1**

35.7.1.05.04 03\_1

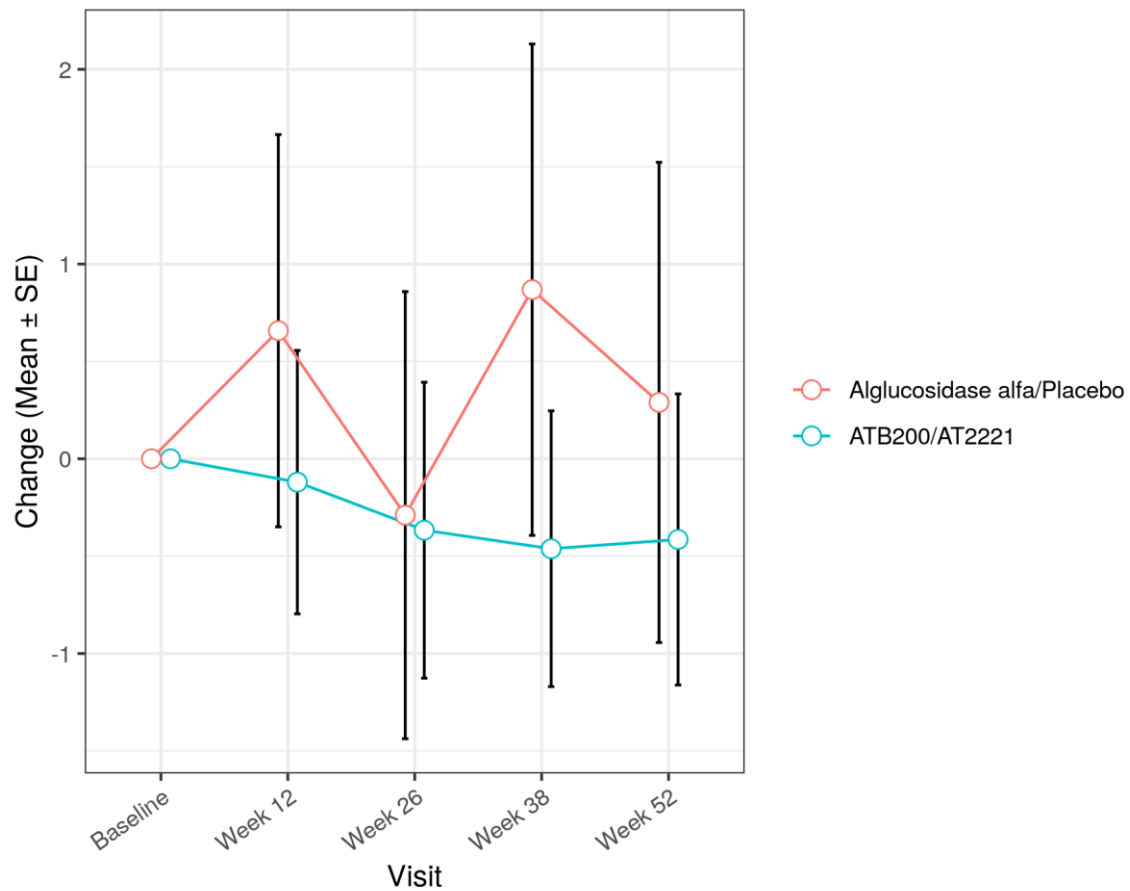


**35.7.1.05.04.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Obere Extremitäten (7a)  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 03\_2****35.7.1.05.04 03\_2**

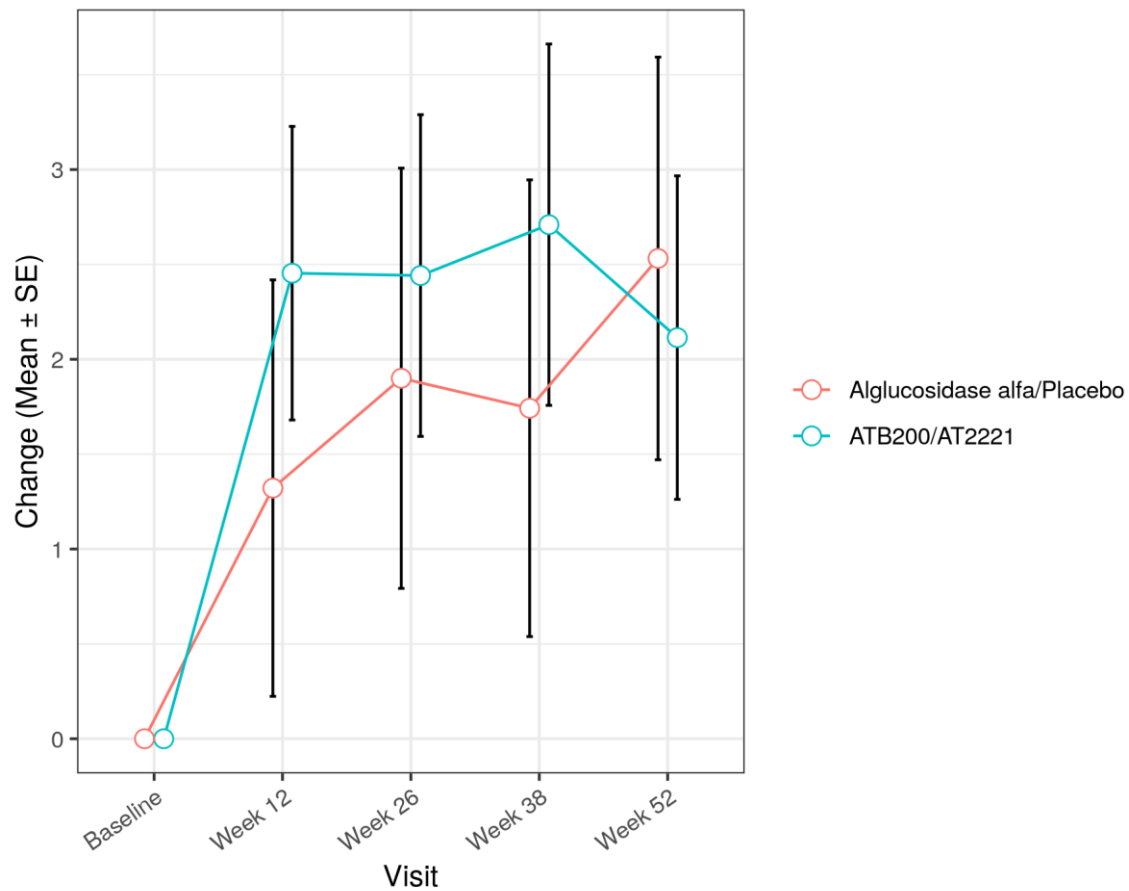
**35.7.1.05.04.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Obere Extremitäten (7a)  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 03\_3****35.7.1.05.04 03\_3**

**35.7.1.05.04.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Obere Extremitäten (7a)  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 07\_1**

35.7.1.05.04 07\_1

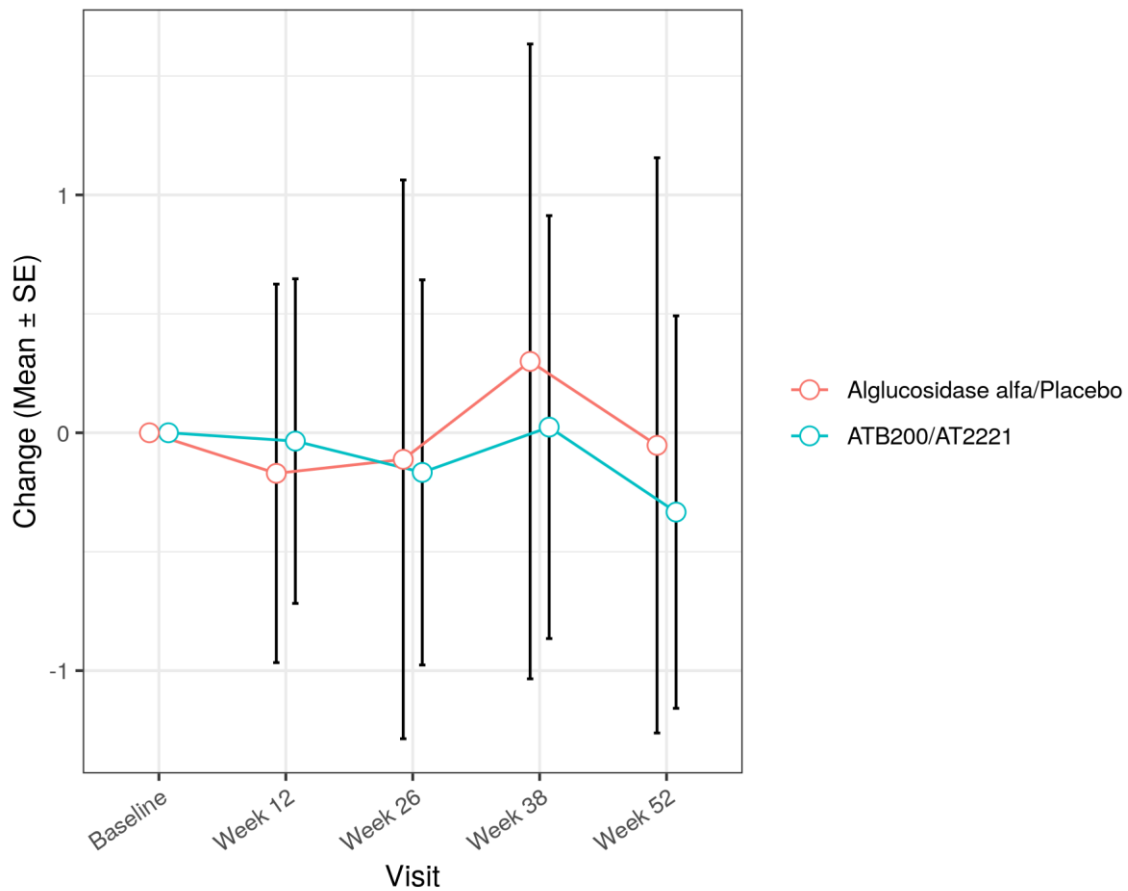


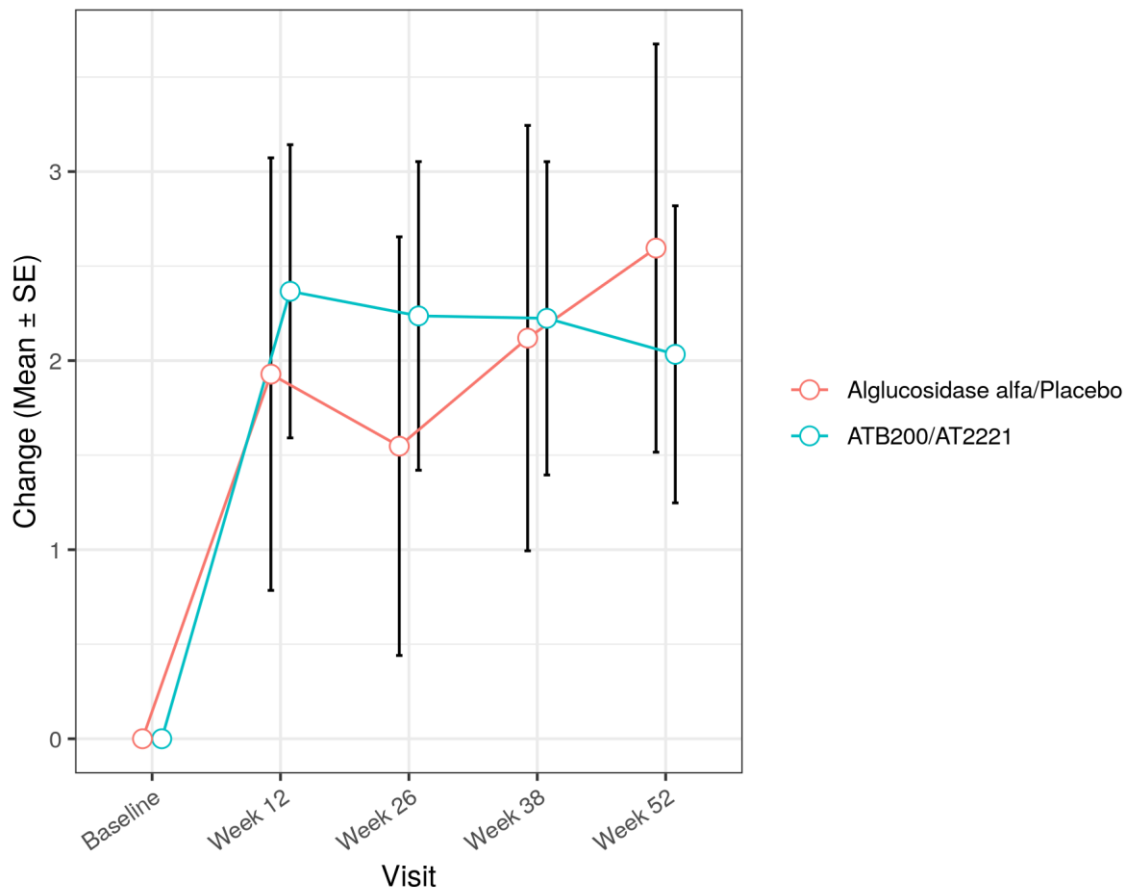


**35.7.1.05.04.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Obere Extremitäten (7a)  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 07\_2****35.7.1.05.04 07\_2**

**35.7.1.05.04.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Obere Extremitäten (7a)  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 08\_1**

35.7.1.05.04 08\_1



**35.7.1.05.04.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Obere Extremitäten (7a)  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 08\_2****35.7.1.05.04 08\_2**

**35.7.1.05.05.2. Verbesserung um 12 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Körperliche Funktion MID = 15 %****35.7.1.05.05.2. Verbesserung um 12 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Körperliche Funktion MID = 15 %: Analyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Cipagluco­sidase alfa/Miglustat vs. Alglucosidase alfa/Placebo		
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>		
N	85	38	RR	OR	ARR
<b>Verbesserung um 12 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Körperliche Funktion MID = 15 %</b>					
n (%)	85 (100)	38 (100)	1,37 [0,624; 2,996]	1,53 [0,530; 4,431]	0,06 [-0,081; 0,201]
Ja (%)	19 (22)	6 (16)	0,4339	0,4307	0,4044
Nein (%)	66 (78)	32 (84)			
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach den zwei Faktoren „Baseline 6MWD“ und „ERT Status“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>					

**35.7.1.05.05.2. Verbesserung um 12 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Körperliche Funktion MID = 15 %: Interaktionstest**

<b>Verbesserung um 12 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Körperliche Funktion MID = 15 %: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,0363
02	0,5467
03	0,7169
04	0,5560
05	0,1510
06	0,5640
07	0,2078
08	0,8483
09	0,4427
10	0,1255
<i><sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

**35.7.1.05.05.2. Verbesserung um 12 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Körperliche Funktion MID = 15 %: Subgruppenanalyse**

Verbesserung um 12 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Körperliche Funktion MID = 15 %			
		Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo
<b>01</b>			
1	N	36	20
	Ereignisse, n (%)	5 (14)	5 (25)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,76 [0,258; 2,237] p = 0,6182	
2	N	49	18
	Ereignisse, n (%)	14 (29)	1 (6)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	4,24 [0,643; 27,990] p = 0,1335	
<b>02</b>			
<b>03</b>			
<b>04</b>			
<b>05</b>			
<b>06</b>			
<b>07</b>			
1	N	42	19
	Ereignisse, n (%)	7 (17)	4 (21)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,75 [0,301; 1,871] p = 0,5389	
2	N	43	19
	Ereignisse, n (%)	12 (28)	2 (11)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	2,58 [0,624; 10,698] p = 0,1905	
<b>08</b>			
1	N	42	17
	Ereignisse, n (%)	8 (19)	2 (12)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,56 [0,349; 6,959] p = 0,5615	

<b>Verbesserung um 12 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Körperliche Funktion MID = 15 %</b>			
		<b>Cipaglucosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
2	N	43	21
	Ereignisse, n (%)	11 (26)	4 (19)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,31 [0,495; 3,467] p = 0,5857	
<b>09</b>			
<b>10</b>			
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach den zwei Faktoren „Baseline 6MWD“ und „ERT Status“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>			

**35.7.1.05.06.2. Verschlechterung um 12 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Körperliche Funktion MID = 15 %****35.7.1.05.06.2. Verschlechterung um 12 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Körperliche Funktion MID = 15 %: Analyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Cipagluco­sidase alfa/Miglustat vs. Alglucosidase alfa/Placebo Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>		
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	RR	OR	ARR
N	85	38			
<b>Verschlechterung um 12 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Körperliche Funktion MID = 15 %</b>					
n (%)	85 (100)	38 (100)	0,37 [0,102; 1,359]	0,34 [0,074; 1,584]	-0,07 [-0,178; 0,039]
Ja (%)	3 (4)	4 (11)	0,1346	0,1700	0,2095
Nein (%)	82 (96)	34 (89)			
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach den zwei Faktoren „Baseline 6MWD“ und „ERT Status“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratum addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>					



**35.7.1.05.06.2. Verschlechterung um 12 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Körperliche Funktion MID = 15 %: Interaktionstest**

<b>Verschlechterung um 12 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Körperliche Funktion MID = 15 %: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,1675
02	0,8200
03	0,2026
04	0,5053
05	0,9999
06	0,2084
07	0,8205
08	0,0254
09	0,7179
10	0,2090
<i><sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

**35.7.1.05.07.2. Verbesserung um 4,8 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Fatigue MID = 15 %****35.7.1.05.07.2. Verbesserung um 4,8 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Fatigue MID = 15 %: Analyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Cipagluco­sidase alfa/Miglustat vs. Alglucosidase alfa/Placebo		
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>		
N	85	38	RR	OR	ARR
<b>Verbesserung um 4,8 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Fatigue MID = 15 %</b>					
n (%)	85 (100)	38 (100)	0,80	0,64	-0,11
Ja (%)	38 (45)	21 (55)	[0,553; 1,172]	[0,294; 1,410]	[-0,297; 0,082]
Nein (%)	47 (55)	17 (45)	0,2580	0,2711	0,2671
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach den zwei Faktoren „Baseline 6MWD“ und „ERT Status“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratum addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>					

### 35.7.1.05.07.2. Verbesserung um 4,8 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Fatigue MID = 15 %: Interaktionstest

Verbesserung um 4,8 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Fatigue MID = 15 %: Interaktionstest der Subgruppen	
Subgruppe	Interaktionstest <sup>a</sup>
01	0,6885
02	0,7099
03	0,7198
04	0,5395
05	0,5220
06	0,6475
07	0,5904
08	0,3661
09	0,9246
10	0,1367

<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.

**35.7.1.05.07.2. Verbesserung um 4,8 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Fatigue MID = 15 %: Subgruppenanalyse**

Verbesserung um 4,8 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Fatigue MID = 15 %			
		Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo
<b>01</b>			
1	N	36	20
	Ereignisse, n (%)	14 (39)	11 (55)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,76 [0,435; 1,315] p = 0,3228	
2	N	49	18
	Ereignisse, n (%)	24 (49)	10 (56)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,00 [0,576; 1,722] p = 0,9880	
<b>02</b>			
<b>03</b>			
1	N	16	11
	Ereignisse, n (%)	8 (50)	6 (55)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,03 [0,433; 2,448] p = 0,9469	
2	N	43	12
	Ereignisse, n (%)	19 (44)	5 (42)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,07 [0,524; 2,170] p = 0,8604	
3	N	26	15
	Ereignisse, n (%)	11 (42)	10 (67)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,61 [0,328; 1,131] p = 0,1163	
<b>04</b>			
<b>05</b>			
<b>06</b>			
<b>07</b>			
1	N	42	19
	Ereignisse, n (%)	17 (40)	8 (42)

<b>Verbesserung um 4,8 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Fatigue MID = 15 %</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,94 [0,489; 1,818] p = 0,8602	
2	N	43	19
	Ereignisse, n (%)	21 (49)	13 (68)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,72 [0,465; 1,110] p = 0,1359	
<b>08</b>			
1	N	42	17
	Ereignisse, n (%)	19 (45)	7 (41)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,02 [0,486; 2,161] p = 0,9484	
2	N	43	21
	Ereignisse, n (%)	19 (44)	14 (67)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,73 [0,449; 1,192] p = 0,2103	
<b>09</b>			
<b>10</b>			
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach den zwei Faktoren „Baseline 6MWD“ und „ERT Status“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>			

**35.7.1.05.08.2. Verschlechterung um 4,8 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Fatigue MID = 15 %****35.7.1.05.08.2. Verschlechterung um 4,8 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Fatigue MID = 15 %: Analyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Cipagluco­sidase alfa/Miglustat vs. Alglucosidase alfa/Placebo Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>		
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	RR	OR	ARR
N	85	38			
<b>Verschlechterung um 4,8 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Fatigue MID = 15 %</b>					
n (%)	85 (100)	38 (100)	0,92 [0,537; 1,587]	0,88 [0,374; 2,089]	-0,02 [-0,197; 0,148]
Ja (%)	25 (29)	12 (32)	0,7732	0,7784	0,7798
Nein (%)	60 (71)	26 (68)			
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach den zwei Faktoren „Baseline 6MWD“ und „ERT Status“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratum addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>					

### 35.7.1.05.08.2. Verschlechterung um 4,8 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Fatigue MID = 15 %: Interaktionstest

Verschlechterung um 4,8 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Fatigue MID = 15 %: Interaktionstest der Subgruppen	
Subgruppe	Interaktionstest <sup>a</sup>
01	0,3424
02	0,6360
03	0,6163
04	0,2199
05	0,3672
06	0,6322
07	0,7156
08	0,3916
09	0,8181
10	0,1734

<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.

**35.7.1.05.08.2. Verschlechterung um 4,8 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Fatigue MID = 15 %: Subgruppenanalyse**

Verschlechterung um 4,8 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Fatigue MID = 15 %			
		Cipaglicosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo
<b>01</b>			
1	N	36	20
	Ereignisse, n (%)	12 (33)	5 (25)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,29 [0,530; 3,122] p = 0,5769	
2	N	49	18
	Ereignisse, n (%)	13 (27)	7 (39)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,61 [0,302; 1,232] p = 0,1678	
<b>02</b>			
<b>03</b>			
1	N	16	11
	Ereignisse, n (%)	5 (31)	4 (36)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,80 [0,316; 2,027] p = 0,6380	
2	N	43	12
	Ereignisse, n (%)	12 (28)	5 (42)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,65 [0,273; 1,550] p = 0,3315	
3	N	26	15
	Ereignisse, n (%)	8 (31)	3 (20)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,50 [0,534; 4,214] p = 0,4417	
<b>04</b>			
<b>05</b>			
<b>06</b>			
<b>07</b>			
1	N	42	19



<b>Verschlechterung um 4,8 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Fatigue MID = 15 %</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Algluco- sidade alfa/Placebo</b>
	Ereignisse, n (%)	16 (38)	7 (37)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,04 [0,549; 1,989] p = 0,8939	
2	N	43	19
	Ereignisse, n (%)	9 (21)	5 (26)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,77 [0,297; 2,016] p = 0,5995	
<b>08</b>			
1	N	42	17
	Ereignisse, n (%)	12 (29)	7 (41)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,87 [0,428; 1,754] p = 0,6904	
2	N	43	21
	Ereignisse, n (%)	13 (30)	5 (24)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,14 [0,421; 3,069] p = 0,8004	
<b>09</b>			
<b>10</b>			
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach den zwei Faktoren „Baseline 6MWD“ und „ERT Status“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>			

**35.7.1.05.09.2. Verbesserung um 4,5 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Dyspnoe MID = 15 %****35.7.1.05.09.2. Verbesserung um 4,5 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Dyspnoe MID = 15 %: Analyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Cipagluco­sidase alfa/Miglustat vs. Alglucosidase alfa/Placebo		
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>		
N	85	38	RR	OR	ARR
<b>Verbesserung um 4,5 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Dyspnoe MID = 15 %</b>					
n (%)	85 (100)	38 (100)	0,83 [0,469; 1,466]	0,75 [0,301; 1,842]	-0,05 [-0,217; 0,112]
Ja (%)	21 (25)	12 (32)	0,5198	0,5243	0,5337
Nein (%)	64 (75)	26 (68)			
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach den zwei Faktoren „Baseline 6MWD“ und „ERT Status“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratum addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>					

**35.7.1.05.09.2. Verbesserung um 4,5 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Dyspnoe MID = 15 %: Interaktionstest**

<b>Verbesserung um 4,5 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Dyspnoe MID = 15 %: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,2716
02	0,6426
03	0,7283
04	0,2191
05	0,9837
06	0,2409
07	0,1942
08	0,9638
09	0,9740
10	0,9254
<i><sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

**35.7.1.05.09.2. Verbesserung um 4,5 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Dyspnoe MID = 15 %: Subgruppenanalyse**

<b>Verbesserung um 4,5 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Dyspnoe MID = 15 %</b>			
		<b>Cipaglucosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>01</b>			
1	N	36	20
	Ereignisse, n (%)	9 (25)	4 (20)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,68 [0,513; 5,508] p = 0,3907	
2	N	49	18
	Ereignisse, n (%)	12 (24)	8 (44)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,58 [0,297; 1,141] p = 0,1148	
<b>02</b>			
<b>03</b>			
1	N	16	11
	Ereignisse, n (%)	8 (50)	6 (55)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,03 [0,433; 2,448] p = 0,9469	
2	N	43	12
	Ereignisse, n (%)	19 (44)	5 (42)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,07 [0,524; 2,170] p = 0,8604	
3	N	26	15
	Ereignisse, n (%)	11 (42)	10 (67)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,61 [0,328; 1,131] p = 0,1163	
<b>04</b>			
<b>05</b>			
<b>06</b>			
<b>07</b>			
1	N	42	19
	Ereignisse, n (%)	13 (31)	10 (53)

<b>Verbesserung um 4,5 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Dyspnoe MID = 15 %</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,63 [0,338; 1,176] p = 0,1473	
2	N	43	19
	Ereignisse, n (%)	8 (19)	2 (11)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,73 [0,437; 6,855] p = 0,4347	
<b>08</b>			
1	N	42	17
	Ereignisse, n (%)	15 (36)	8 (47)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,76 [0,402; 1,443] p = 0,4039	
2	N	43	21
	Ereignisse, n (%)	6 (14)	4 (19)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,03 [0,381; 2,810] p = 0,9475	
<b>09</b>			
<b>10</b>			
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach den zwei Faktoren „Baseline 6MWD“ und „ERT Status“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>			

**35.7.1.05.10.2. Verschlechterung um 4,5 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Dyspnoe MID = 15 %****35.7.1.05.10.2. Verschlechterung um 4,5 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Dyspnoe MID = 15 %: Analyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Cipagluco­sidase alfa/Miglustat vs. Alglu­co­sidase alfa/Placebo		
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Alglu­co­sidase alfa/Placebo	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>		
N	85	38	RR	OR	ARR
<b>Verschlechterung um 4,5 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Dyspnoe MID = 15 %</b>					
n (%)	85 (100)	38 (100)	0,94 [0,365; 2,432]	0,93 [0,322; 2,708]	-0,01 [-0,148; 0,131]
Ja (%)	13 (15)	6 (16)	0,9026	0,9006	0,9014
Nein (%)	72 (85)	32 (84)			
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach den zwei Faktoren „Baseline 6MWD“ und „ERT Status“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>					

### 35.7.1.05.10.2. Verschlechterung um 4,5 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Dyspnoe MID = 15 %: Interaktionstest

Verschlechterung um 4,5 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Dyspnoe MID = 15 %: Interaktionstest der Subgruppen	
Subgruppe	Interaktionstest <sup>a</sup>
01	0,0727
02	0,4736
03	0,0577
04	0,3992
05	0,8352
06	0,3125
07	0,8936
08	0,3242
09	0,6358
10	0,2415

<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.

**35.7.1.05.10.2. Verschlechterung um 4,5 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Dyspnoe MID = 15 %: Subgruppenanalyse**

Verschlechterung um 4,5 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Dyspnoe MID = 15 %			
		Cipaglicosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo
<b>01</b>			
1	N	36	20
	Ereignisse, n (%)	12 (33)	5 (25)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,29 [0,530; 3,122] p = 0,5769	
2	N	49	18
	Ereignisse, n (%)	13 (27)	7 (39)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,61 [0,302; 1,232] p = 0,1678	
<b>02</b>			
<b>03</b>			
1	N	16	11
	Ereignisse, n (%)	0 (0)	3 (27)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,37 [0,103; 1,346] p = 0,1318	
2	N	43	12
	Ereignisse, n (%)	10 (23)	2 (17)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,63 [0,334; 7,912] p = 0,5477	
3	N	26	15
	Ereignisse, n (%)	3 (12)	1 (7)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	2,00 [0,141; 28,416] p = 0,6087	
<b>04</b>			
<b>05</b>			
<b>06</b>			
<b>07</b>			
1	N	42	19



<b>Verschlechterung um 4,5 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Dyspnoe MID = 15 %</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
	Ereignisse, n (%)	16 (38)	7 (37)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,04 [0,549; 1,989] p = 0,8939	
2	N	43	19
	Ereignisse, n (%)	9 (21)	5 (26)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,77 [0,297; 2,016] p = 0,5995	
<b>08</b>			
1	N	42	17
	Ereignisse, n (%)	12 (29)	7 (41)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,87 [0,428; 1,754] p = 0,6904	
2	N	43	21
	Ereignisse, n (%)	13 (30)	5 (24)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,14 [0,421; 3,069] p = 0,8004	
<b>09</b>			
<b>10</b>			
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach den zwei Faktoren „Baseline 6MWD“ und „ERT Status“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>			

**35.7.1.05.11.2. Verbesserung um 4,2 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Obere Extremitäten MID = 15 %****35.7.1.05.11.2. Verbesserung um 4,2 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Obere Extremitäten MID = 15 %: Analyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Cipagluco­sidase alfa/Miglustat vs. Alglucosidase alfa/Placebo Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>		
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	RR	OR	ARR
N	85	38			
<b>Verbesserung um 4,2 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Obere Extremitäten MID = 15 %</b>					
n (%)	85 (100)	38 (100)	0,90 [0,547; 1,495]	0,84 [0,365; 1,956]	-0,04 [-0,212; 0,142]
Ja (%)	29 (34)	14 (37)	0,6945	0,6936	0,6958
Nein (%)	56 (66)	24 (63)			
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach den zwei Faktoren „Baseline 6MWD“ und „ERT Status“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>					

**35.7.1.05.11.2. Verbesserung um 4,2 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Obere Extremitäten MID = 15 %: Interaktionstest**

<b>Verbesserung um 4,2 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Obere Extremitäten MID = 15 %: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,5290
02	0,1664
03	0,8877
04	0,2977
05	0,7917
06	0,5048
07	0,4754
08	0,8698
09	0,6914
10	0,5581
<i><sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

**35.7.1.05.11.2. Verbesserung um 4,2 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Obere Extremitäten MID = 15 %: Subgruppenanalyse**

<b>Verbesserung um 4,2 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Obere Extremitäten MID = 15 %</b>			
		<b>Cipaglusidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>01</b>			
1	N	36	20
	Ereignisse, n (%)	15 (42)	10 (50)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,91 [0,515; 1,593] p = 0,7300	
2	N	49	18
	Ereignisse, n (%)	14 (29)	4 (22)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,26 [0,395; 4,046] p = 0,6923	
<b>02</b>			
<b>03</b>			
1	N	16	11
	Ereignisse, n (%)	7 (44)	5 (45)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,80 [0,325; 1,967] p = 0,6269	
2	N	43	12
	Ereignisse, n (%)	14 (33)	5 (42)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,79 [0,375; 1,652] p = 0,5277	
3	N	26	15
	Ereignisse, n (%)	8 (31)	4 (27)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,11 [0,412; 2,981] p = 0,8389	
<b>04</b>			
<b>05</b>			
<b>06</b>			
<b>07</b>			
1	N	42	19

<b>Verbesserung um 4,2 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Obere Extremitäten MID = 15 %</b>			
		<b>Cipaglucosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
	Ereignisse, n (%)	11 (26)	7 (37)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,64 [0,308; 1,334] p = 0,2341	
2	N	43	19
	Ereignisse, n (%)	18 (42)	7 (37)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,16 [0,577; 2,344] p = 0,6736	
<b>08</b>			
1	N	42	17
	Ereignisse, n (%)	13 (31)	6 (35)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,71 [0,332; 1,529] p = 0,3847	
2	N	43	21
	Ereignisse, n (%)	16 (37)	8 (38)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,03 [0,515; 2,058] p = 0,9347	
<b>09</b>			
<b>10</b>			
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach den zwei Faktoren „Baseline 6MWD“ und „ERT Status“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>			

**35.7.1.05.12.2. Verschlechterung um 4,2 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Obere Extremitäten MID = 15 %****35.7.1.05.12.2. Verschlechterung um 4,2 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Obere Extremitäten MID = 15 %: Analyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Cipaglucosidase alfa/Miglustat vs. Alglucosidase alfa/Placebo Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>		
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	RR	OR	ARR
N	85	38			
<b>Verschlechterung um 4,2 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Obere Extremitäten MID = 15 %</b>					
n (%)	85 (100)	38 (100)	1,33 [0,641; 2,762]	1,52 [0,526; 4,402]	0,06 [-0,082; 0,198]
Ja (%)	19 (22)	7 (18)	0,4435	0,4387	0,4143
Nein (%)	66 (78)	31 (82)			
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach den zwei Faktoren „Baseline 6MWD“ und „ERT Status“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>					

**35.7.1.05.12.2. Verschlechterung um 4,2 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Obere Extremitäten MID = 15 %: Interaktionstest**

<b>Verschlechterung um 4,2 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Obere Extremitäten MID = 15 %: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,3997
02	0,2122
03	0,3842
04	0,0914
05	0,7146
06	0,5183
07	0,7098
08	0,5506
09	0,3268
10	0,0160
<i><sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

**35.7.1.05.12.2. Verschlechterung um 4,2 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Obere Extremitäten MID = 15 %: Subgruppenanalyse**

<b>Verschlechterung um 4,2 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Obere Extremitäten MID = 15 %</b>			
		<b>Cipaglicosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>01</b>			
1	N	36	20
	Ereignisse, n (%)	7 (19)	2 (10)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,95 [0,463; 8,184] p = 0,3630	
2	N	49	18
	Ereignisse, n (%)	12 (24)	5 (28)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,92 [0,410; 2,053] p = 0,8332	
<b>02</b>			
<b>03</b>			
1	N	16	11
	Ereignisse, n (%)	0 (0)	3 (27)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,37 [0,103; 1,346] p = 0,1318	
2	N	43	12
	Ereignisse, n (%)	10 (23)	2 (17)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,63 [0,334; 7,912] p = 0,5477	
3	N	26	15
	Ereignisse, n (%)	3 (12)	1 (7)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	2,00 [0,141; 28,416] p = 0,6087	
<b>04</b>			
<b>05</b>			
<b>06</b>			
<b>07</b>			
1	N	42	19



<b>Verschlechterung um 4,2 Punkte im PROMIS gegenüber Baseline im Gesamtwert Obere Extremitäten MID = 15 %</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Algluco- sidade alfa/Placebo</b>
	Ereignisse, n (%)	12 (29)	5 (26)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,30 [0,564; 2,977] p = 0,5420	
2	N	43	19
	Ereignisse, n (%)	7 (16)	2 (11)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,48 [0,360; 6,062] p = 0,5888	
<b>08</b>			
1	N	42	17
	Ereignisse, n (%)	14 (33)	4 (24)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,74 [0,684; 4,420] p = 0,2450	
2	N	43	21
	Ereignisse, n (%)	5 (12)	3 (14)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,86 [0,247; 2,988] p = 0,8111	
<b>09</b>			
<b>10</b>			
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach den zwei Faktoren „Baseline 6MWD“ und „ERT Status“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>			



**Gait, Stairs, Gowers, Chair (GSGC)****35.7.1.06****35.7.1.06.01.1. Veränderung des GSGC-Gesamtwertes****35.7.1.06.01.1. Veränderung des GSGC-Gesamtwertes: Interaktionstest**

<b>Veränderung des GSGC-Gesamtwertes: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,0572
02	0,1012
03	0,3448
04	0,5399
05	0,2131
06	0,4974
07	0,0189
08	0,0815
09	0,1160
10	0,1741

<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.

In dem Interaktionstest bei Subgruppe 09 ERT-Dauer wird die Variable ERT-Status aus dem Model entfernt, da es keine Dauer der ERT Behandlung für ERT naive Patienten gibt

**35.7.1.06.01.1. Veränderung des GSGC-Gesamtwertes: Subgruppenanalyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Algluco- sidade alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>Veränderung des GSGC-Gesamtwertes</b>			
Baseline-Werte			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	31/36 (86)	16/20 (80)	-
MW (SD)	12,45 (5,161)	13,25 (4,683)	
2			
n/N (%)	41/49 (84)	15/18 (83)	-
MW (SD)	15,64 (4,536)	14,73 (5,007)	
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	30/42 (71)	13/19 (68)	-
MW (SD)	17,10 (4,374)	16,46 (4,294)	
2			
n/N (%)	42/43 (98)	18/19 (95)	-
MW (SD)	12,25 (4,515)	12,17 (4,449)	
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	34/42 (81)	13/17 (76)	-
MW (SD)	15,38 (4,889)	15,54 (3,711)	
2			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Algluco- sidade alfa/Placebo	
N	85	38	-
n/N (%)	38/43 (88)	18/21 (86)	-
MW (SD)	13,28 (5,023)	12,83 (5,294)	
Änderung zu Woche 12			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	31/36 (86)	16/20 (80)	Hedges` g
MW (SD)	-0,23 (1,421)	0,44 (1,315)	-0,47 [-1,084; 0,139]
LS MW (SE)	-0,31 (0,244)	0,59 (0,345)	LS MD
95 %-KI	-0,801; 0,184	-0,106; 1,289	-0,90 [-1,774; -0,026] 0,0439
2			
n/N (%)	39/49 (80)	15/18 (83)	Hedges` g
MW (SD)	-0,12 (2,057)	-0,27 (1,335)	0,08 [-0,517; 0,675]
LS MW (SE)	-0,00 (0,290)	-0,56 (0,477)	LS MD
95 %-KI	-0,585; 0,580	-1,520; 0,398	0,56 [-0,583; 1,701] 0,3300
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	28/42 (67)	13/19 (68)	Hedges` g
MW (SD)	-0,29 (1,654)	0,00 (0,913)	-0,19 [-0,853; 0,466]
LS MW (SE)	-0,24 (0,278)	-0,11 (0,423)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-0,804; 0,328	-0,970; 0,750	-0,13 [-1,199; 0,942] 0,8087
2			
n/N (%)	42/43 (98)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,08 (1,893)	0,17 (1,618)	-0,14 [-0,689; 0,417]
LS MW (SE)	-0,09 (0,287)	0,19 (0,441)	LS MD
95 %-KI	-0,671; 0,482	-0,692; 1,077	-0,29 [-1,347; 0,773] 0,5893
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	32/42 (76)	13/17 (76)	Hedges` g
MW (SD)	-0,32 (1,867)	0,15 (1,281)	-0,27 [-0,915; 0,380]
LS MW (SE)	-0,29 (0,291)	0,09 (0,460)	LS MD
95 %-KI	-0,882; 0,299	-0,837; 1,026	-0,39 [-1,495; 0,723] 0,4852
2			
n/N (%)	38/43 (88)	18/21 (86)	Hedges` g
MW (SD)	-0,04 (1,741)	0,06 (1,434)	-0,06 [-0,618; 0,504]
LS MW (SE)	-0,06 (0,282)	0,11 (0,418)	LS MD
95 %-KI	-0,631; 0,503	-0,733; 0,948	-0,17 [-1,209; 0,867] 0,7416
Änderung zu Woche 26			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	31/36 (86)	16/20 (80)	Hedges` g
MW (SD)	-0,39 (1,638)	0,94 (1,611)	-0,80 [-1,428; -0,175]
LS MW (SE)	-0,43 (0,304)	1,02 (0,431)	LS MD
95 %-KI	-1,046; 0,183	0,147; 1,888	-1,45 [-2,541; -0,358] 0,0105
2			
n/N (%)	39/49 (80)	15/18 (83)	Hedges` g
MW (SD)	-0,53 (2,161)	0,07 (1,831)	-0,28 [-0,879; 0,317]
LS MW (SE)	-0,47 (0,333)	-0,09 (0,547)	LS MD
95 %-KI	-1,134; 0,204	-1,191; 1,011	-0,38 [-1,687; 0,936] 0,5677
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	28/42 (67)	13/19 (68)	Hedges` g
MW (SD)	-0,22 (1,514)	0,31 (1,494)	-0,34 [-1,004; 0,321]
LS MW (SE)	-0,15 (0,285)	0,17 (0,433)	LS MD
95 %-KI	-0,733; 0,425	-0,710; 1,050	-0,32 [-1,420; 0,772] 0,5516
2			
n/N (%)	42/43 (98)	18/19 (95)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	-0,63 (2,173)	0,67 (1,940)	-0,61 [-1,171; -0,044]
LS MW (SE)	-0,64 (0,332)	0,69 (0,509)	LS MD
95 %-KI	-1,308; 0,025	-0,330; 1,713	-1,33 [-2,558; -0,108] 0,0336
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	32/42 (76)	13/17 (76)	Hedges` g
MW (SD)	-0,57 (2,148)	1,00 (1,683)	-0,76 [-1,423; -0,093]
LS MW (SE)	-0,55 (0,359)	0,96 (0,567)	LS MD
95 %-KI	-1,278; 0,178	-0,188; 2,110	-1,51 [-2,880; -0,143] 0,0313
2			
n/N (%)	38/43 (88)	18/21 (86)	Hedges` g
MW (SD)	-0,38 (1,761)	0,17 (1,757)	-0,31 [-0,871; 0,257]
LS MW (SE)	-0,40 (0,298)	0,21 (0,442)	LS MD
95 %-KI	-1,002; 0,198	-0,680; 1,099	-0,61 [-1,709; 0,487] 0,2685
Änderung zu Woche 38			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	31/36 (86)	16/20 (80)	Hedges` g
MW (SD)	-0,65 (1,899)	0,44 (1,861)	-0,57 [-1,181; 0,049]



PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
LS MW (SE)	-0,67 (0,358)	0,47 (0,507)	LS MD
95 %-KI	-1,391; 0,057	-0,552; 1,498	-1,14 [-2,425; 0,145] 0,0806
2			
n/N (%)	39/49 (80)	15/18 (83)	Hedges` g
MW (SD)	-0,68 (2,407)	-0,27 (1,870)	-0,18 [-0,775; 0,418]
LS MW (SE)	-0,66 (0,375)	-0,32 (0,617)	LS MD
95 %-KI	-1,411; 0,097	-1,566; 0,916	-0,33 [-1,810; 1,146] 0,6532
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	28/42 (67)	13/19 (68)	Hedges` g
MW (SD)	-0,65 (2,086)	-0,31 (1,843)	-0,16 [-0,824; 0,494]
LS MW (SE)	-0,66 (0,417)	-0,28 (0,633)	LS MD
95 %-KI	-1,506; 0,189	-1,569; 1,007	-0,38 [-1,981; 1,226] 0,6349
2			
n/N (%)	42/43 (98)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,68 (2,268)	0,39 (1,883)	-0,49 [-1,047; 0,072]
LS MW (SE)	-0,68 (0,348)	0,40 (0,534)	LS MD
95 %-KI	-1,380; 0,017	-0,675; 1,467	-1,08 [-2,361; 0,207] 0,0983

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	32/42 (76)	13/17 (76)	Hedges` g
MW (SD)	-0,69 (2,396)	0,77 (1,739)	-0,64 [-1,302; 0,017]
LS MW (SE)	-0,67 (0,404)	0,71 (0,638)	LS MD
95 %-KI	-1,486; 0,151	-0,579; 2,004	-1,38 [-2,918; 0,158] 0,0772
2			
n/N (%)	38/43 (88)	18/21 (86)	Hedges` g
MW (SD)	-0,64 (2,017)	-0,39 (1,852)	-0,13 [-0,690; 0,433]
LS MW (SE)	-0,69 (0,330)	-0,29 (0,489)	LS MD
95 %-KI	-1,354; -0,028	-1,273; 0,691	-0,40 [-1,613; 0,813] 0,5103
Änderung zu Woche 52			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	31/36 (86)	16/20 (80)	Hedges` g
MW (SD)	-0,45 (2,460)	1,19 (1,834)	-0,71 [-1,333; -0,089]
LS MW (SE)	-0,47 (0,409)	1,22 (0,580)	LS MD
95 %-KI	-1,298; 0,357	0,046; 2,391	-1,69 [-3,159; -0,220] 0,0253
2			
n/N (%)	41/49 (84)	15/18 (83)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	-0,59 (2,631)	0,13 (1,767)	-0,29 [-0,888; 0,300]
LS MW (SE)	-0,54 (0,388)	0,00 (0,655)	LS MD
95 %-KI	-1,324; 0,235	-1,314; 1,317	-0,55 [-2,101; 1,009] 0,4839
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	30/42 (71)	13/19 (68)	Hedges` g
MW (SD)	-0,30 (1,869)	-0,15 (1,819)	-0,08 [-0,727; 0,575]
LS MW (SE)	-0,33 (0,357)	-0,08 (0,564)	LS MD
95 %-KI	-1,054; 0,397	-1,225; 1,063	-0,25 [-1,654; 1,159] 0,7231
2			
n/N (%)	42/43 (98)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,70 (2,941)	1,28 (1,674)	-0,74 [-1,311; -0,173]
LS MW (SE)	-0,71 (0,414)	1,31 (0,635)	LS MD
95 %-KI	-1,545; 0,117	0,031; 2,580	-2,02 [-3,547; -0,491] 0,0106
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	34/42 (81)	13/17 (76)	Hedges` g
MW (SD)	-0,56 (2,590)	1,23 (1,787)	-0,73 [-1,389; -0,074]
LS MW (SE)	-0,55 (0,419)	1,20 (0,683)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-1,394; 0,303	-0,177; 2,585	-1,75 [-3,381; -0,119] 0,0361
2			
n/N (%)	38/43 (88)	18/21 (86)	Hedges` g
MW (SD)	-0,51 (2,532)	0,28 (1,841)	-0,33 [-0,898; 0,231]
LS MW (SE)	-0,55 (0,392)	0,35 (0,580)	LS MD
95 %-KI	-1,335; 0,240	-0,816; 1,517	-0,90 [-2,338; 0,543] 0,2163
<p><sup>a</sup>Die Veränderung der Punktwerte gegenüber Baseline plus 95 %-KI und p-Wert zu jedem spezifizierten Zeitpunkt wurden mit einer ANCOVA, stratifiziert nach Geschlecht, Alter, Gewicht und Größe zu Baseline und ERT-Status mit dem Baseline-Wert der jeweiligen Skala als Kovariate auf Basis der Mittelwerte der kleinsten Quadrate analysiert.durch die gepoolte Standardabweichung.</p> <p>ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; LS MD: Mittelwertdifferenz der kleinsten Quadrate; LS MW (SE): Mittelwert der kleinsten Quadrate (Standardfehler); MW (SD): Mittelwert (Standardabweichung); N: Patienten mit Baselinewert; n: Anzahl der Patienten mit Baselinewert in der Analyse</p>			

**35.7.1.06.02.1. Veränderung des GSGC-Wertes - Gang****35.7.1.06.02.1. Veränderung des GSGC-Wertes - Gang: Interaktionstest**

<b>Veränderung des GSGC-Wertes - Gang: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,0003
02	0,0031
03	0,5818
04	0,6492
05	0,8340
06	0,5778
07	0,5938
08	0,7276
09	0,1942
10	0,0386

*<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.*

*In dem Interaktionstest bei Subgruppe 09 ERT-Dauer wird die Variable ERT-Status aus dem Model entfernt, da es keine Dauer der ERT Behandlung für ERT naive Patienten gibt*

**35.7.1.06.02.1. Veränderung des GSGC-Wertes - Gang: Subgruppenanalyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>Veränderung des GSGC-Wertes - Gang</b>			
Baseline-Werte			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	34/36 (94)	19/20 (95)	-
MW (SD)	2,47 (0,861)	2,68 (1,003)	
2			
n/N (%)	46/49 (94)	17/18 (94)	-
MW (SD)	2,89 (1,215)	2,65 (1,057)	
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	13/16 (81)	9/11 (82)	-
MW (SD)	2,15 (0,899)	2,11 (0,333)	
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	-
MW (SD)	3,07 (1,033)	2,75 (1,288)	
3			
n/N (%)	24/26 (92)	15/15 (100)	-
MW (SD)	2,38 (1,096)	2,93 (0,961)	
<b>07</b>			
1			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
<b>N</b>	<b>85</b>	<b>38</b>	-
n/N (%)	37/42 (88)	18/19 (95)	-
MW (SD)	3,35 (1,111)	3,11 (1,132)	
<b>2</b>			
n/N (%)	43/43 (100)	18/19 (95)	-
MW (SD)	2,16 (0,721)	2,22 (0,647)	
<b>08</b>			
<b>1</b>			
n/N (%)	40/42 (95)	16/17 (94)	-
MW (SD)	2,92 (1,163)	2,75 (0,931)	
<b>2</b>			
n/N (%)	40/43 (93)	20/21 (95)	-
MW (SD)	2,50 (0,987)	2,60 (1,095)	
Änderung zu Woche 12			
<b>01</b>			
<b>1</b>			
n/N (%)	34/36 (94)	19/20 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,06 (0,489)	-0,16 (0,602)	0,18 [-0,379; 0,746]
LS MW (SE)	-0,09 (0,088)	-0,10 (0,120)	LS MD
95 %-KI	-0,267; 0,088	-0,345; 0,138	0,01 [-0,295; 0,323] 0,9278
<b>2</b>			
n/N (%)	45/49 (92)	17/18 (94)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	-0,18 (0,614)	0,24 (0,562)	-0,68 [-1,251; -0,108]
LS MW (SE)	-0,16 (0,089)	0,20 (0,148)	LS MD
95 %-KI	-0,343; 0,013	-0,095; 0,497	-0,37 [-0,718; -0,014] 0,0417
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	13/16 (81)	9/11 (82)	Hedges` g
MW (SD)	-0,15 (0,555)	-0,11 (0,601)	-0,07 [-0,922; 0,779]
LS MW (SE)	-0,19 (0,160)	-0,07 (0,198)	LS MD
95 %-KI	-0,529; 0,157	-0,489; 0,359	-0,12 [-0,705; 0,464] 0,6656
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,09 (0,526)	0,17 (0,389)	-0,51 [-1,159; 0,136]
LS MW (SE)	-0,09 (0,080)	0,15 (0,152)	LS MD
95 %-KI	-0,248; 0,073	-0,160; 0,452	-0,23 [-0,580; 0,113] 0,1822
3			
n/N (%)	23/26 (88)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,17 (0,650)	0,00 (0,756)	-0,25 [-0,899; 0,408]
LS MW (SE)	-0,31 (0,126)	0,22 (0,160)	LS MD



PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-0,572; -0,057	-0,111; 0,542	-0,53 [-0,967; -0,093] 0,0192
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	37/42 (88)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,16 (0,646)	-0,06 (0,639)	-0,16 [-0,727; 0,401]
LS MW (SE)	-0,18 (0,107)	-0,02 (0,158)	LS MD
95 %-KI	-0,394; 0,038	-0,340; 0,294	-0,15 [-0,551; 0,241] 0,4354
2			
n/N (%)	42/43 (98)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,10 (0,484)	0,11 (0,583)	-0,40 [-0,952; 0,162]
LS MW (SE)	-0,11 (0,082)	0,14 (0,126)	LS MD
95 %-KI	-0,270; 0,058	-0,116; 0,389	-0,24 [-0,545; 0,061] 0,1144
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	40/42 (95)	16/17 (94)	Hedges` g
MW (SD)	-0,15 (0,622)	0,06 (0,680)	-0,33 [-0,911; 0,255]
LS MW (SE)	-0,16 (0,101)	0,08 (0,161)	LS MD
95 %-KI	-0,359; 0,047	-0,245; 0,401	-0,23 [-0,619; 0,150] 0,2258

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
2			
n/N (%)	39/43 (91)	20/21 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,10 (0,502)	0,00 (0,562)	-0,19 [-0,734; 0,347]
LS MW (SE)	-0,13 (0,086)	0,05 (0,123)	LS MD
95 %-KI	-0,300; 0,047	-0,201; 0,295	-0,17 [-0,485; 0,138] 0,2686
Änderung zu Woche 26			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	25/36 (69)	18/20 (90)	Hedges` g
MW (SD)	0,20 (0,707)	-0,22 (0,647)	0,61 [-0,014; 1,228]
LS MW (SE)	0,20 (0,144)	-0,22 (0,172)	LS MD
95 %-KI	-0,092; 0,493	-0,572; 0,127	0,42 [-0,051; 0,897] 0,0787
2			
n/N (%)	43/49 (88)	14/18 (78)	Hedges` g
MW (SD)	-0,26 (0,658)	0,21 (0,426)	-0,76 [-1,379; -0,139]
LS MW (SE)	-0,24 (0,096)	0,17 (0,176)	LS MD
95 %-KI	-0,434; -0,049	-0,182; 0,524	-0,41 [-0,827; 0,002] 0,0511
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	12/16 (75)	9/11 (82)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Alglucosidade alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	-0,25 (0,622)	-0,11 (0,782)	-0,19 [-1,059; 0,674]
LS MW (SE)	-0,17 (0,193)	-0,22 (0,229)	LS MD
95 %-KI	-0,584; 0,251	-0,717; 0,273	0,05 [-0,650; 0,760] 0,8688
2			
n/N (%)	32/43 (74)	8/12 (67)	Hedges` g
MW (SD)	-0,06 (0,669)	-0,12 (0,354)	0,10 [-0,677; 0,873]
LS MW (SE)	-0,05 (0,111)	-0,16 (0,237)	LS MD
95 %-KI	-0,281; 0,173	-0,642; 0,323	0,11 [-0,444; 0,656] 0,6970
3			
n/N (%)	24/26 (92)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,04 (0,806)	0,07 (0,594)	-0,14 [-0,791; 0,501]
LS MW (SE)	-0,10 (0,157)	0,17 (0,204)	LS MD
95 %-KI	-0,423; 0,216	-0,249; 0,581	-0,27 [-0,821; 0,283] 0,3271
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	32/42 (76)	15/19 (79)	Hedges` g
MW (SD)	-0,16 (0,767)	0,07 (0,594)	-0,31 [-0,922; 0,311]
LS MW (SE)	-0,13 (0,132)	0,02 (0,200)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-0,402; 0,133	-0,384; 0,425	-0,15 [-0,660; 0,350] 0,5388
2			
n/N (%)	36/43 (84)	17/19 (89)	Hedges` g
MW (SD)	-0,03 (0,654)	-0,12 (0,600)	0,14 [-0,439; 0,716]
LS MW (SE)	-0,03 (0,103)	-0,12 (0,152)	LS MD
95 %-KI	-0,235; 0,182	-0,426; 0,187	0,09 [-0,282; 0,468] 0,6194
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	36/42 (86)	14/17 (82)	Hedges` g
MW (SD)	-0,03 (0,696)	0,14 (0,770)	-0,23 [-0,853; 0,385]
LS MW (SE)	-0,03 (0,123)	0,16 (0,199)	LS MD
95 %-KI	-0,281; 0,214	-0,244; 0,560	-0,19 [-0,669; 0,287] 0,4237
2			
n/N (%)	32/43 (74)	18/21 (86)	Hedges` g
MW (SD)	-0,16 (0,723)	-0,17 (0,383)	0,02 [-0,561; 0,594]
LS MW (SE)	-0,10 (0,107)	-0,27 (0,146)	LS MD
95 %-KI	-0,314; 0,116	-0,563; 0,025	0,17 [-0,209; 0,548] 0,3702
Änderung zu Woche 38			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	29/36 (81)	18/20 (90)	Hedges` g
MW (SD)	-0,03 (0,566)	-0,11 (0,583)	0,13 [-0,457; 0,720]
LS MW (SE)	-0,06 (0,104)	-0,08 (0,133)	LS MD
95 %-KI	-0,265; 0,155	-0,347; 0,192	0,02 [-0,328; 0,372] 0,8979
2			
n/N (%)	42/49 (86)	16/18 (89)	Hedges` g
MW (SD)	-0,21 (0,842)	0,12 (0,619)	-0,42 [-1,006; 0,157]
LS MW (SE)	-0,20 (0,119)	0,10 (0,198)	LS MD
95 %-KI	-0,442; 0,035	-0,302; 0,494	-0,30 [-0,775; 0,177] 0,2127
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	11/16 (69)	9/11 (82)	Hedges` g
MW (SD)	-0,27 (0,647)	0,11 (0,601)	-0,59 [-1,491; 0,317]
LS MW (SE)	-0,29 (0,168)	0,13 (0,190)	LS MD
95 %-KI	-0,653; 0,081	-0,287; 0,541	-0,41 [-1,016; 0,191] 0,1621
2			
n/N (%)	40/43 (93)	11/12 (92)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	-0,12 (0,723)	0,09 (0,539)	-0,31 [-0,979; 0,362]
LS MW (SE)	-0,13 (0,111)	0,11 (0,215)	LS MD
95 %-KI	-0,354; 0,094	-0,324; 0,543	-0,24 [-0,732; 0,253] 0,3322
3			
n/N (%)	20/26 (77)	14/15 (93)	Hedges` g
MW (SD)	-0,10 (0,852)	-0,14 (0,663)	0,05 [-0,630; 0,737]
LS MW (SE)	-0,26 (0,163)	0,09 (0,199)	LS MD
95 %-KI	-0,595; 0,075	-0,323; 0,494	-0,35 [-0,904; 0,213] 0,2145
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	33/42 (79)	16/19 (84)	Hedges` g
MW (SD)	-0,18 (0,769)	-0,06 (0,574)	-0,16 [-0,763; 0,433]
LS MW (SE)	-0,16 (0,123)	-0,10 (0,183)	LS MD
95 %-KI	-0,412; 0,085	-0,470; 0,268	-0,06 [-0,525; 0,400] 0,7864
2			
n/N (%)	38/43 (88)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,11 (0,727)	0,06 (0,639)	-0,23 [-0,789; 0,336]
LS MW (SE)	-0,13 (0,113)	0,11 (0,165)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-0,357; 0,098	-0,227; 0,438	-0,23 [-0,641; 0,171] 0,2503
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	34/42 (81)	15/17 (88)	Hedges` g
MW (SD)	0,00 (0,739)	0,07 (0,704)	-0,09 [-0,698; 0,518]
LS MW (SE)	-0,02 (0,120)	0,11 (0,184)	LS MD
95 %-KI	-0,262; 0,224	-0,262; 0,480	-0,13 [-0,578; 0,322] 0,5690
2			
n/N (%)	37/43 (86)	19/21 (90)	Hedges` g
MW (SD)	-0,27 (0,732)	-0,05 (0,524)	-0,32 [-0,877; 0,236]
LS MW (SE)	-0,27 (0,112)	-0,05 (0,159)	LS MD
95 %-KI	-0,494; -0,045	-0,373; 0,267	-0,22 [-0,618; 0,185] 0,2835
Änderung zu Woche 52			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	29/36 (81)	18/20 (90)	Hedges` g
MW (SD)	0,00 (0,707)	0,06 (0,539)	-0,08 [-0,673; 0,504]
LS MW (SE)	-0,02 (0,109)	0,08 (0,141)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-0,237; 0,205	-0,203; 0,365	-0,10 [-0,466; 0,273] 0,6008
2			
n/N (%)	44/49 (90)	17/18 (94)	Hedges` g
MW (SD)	-0,14 (0,824)	0,18 (0,728)	-0,39 [-0,951; 0,178]
LS MW (SE)	-0,11 (0,115)	0,10 (0,189)	LS MD
95 %-KI	-0,337; 0,124	-0,280; 0,479	-0,21 [-0,660; 0,247] 0,3661
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	12/16 (75)	9/11 (82)	Hedges` g
MW (SD)	-0,17 (0,389)	-0,11 (0,601)	-0,11 [-0,974; 0,756]
LS MW (SE)	-0,09 (0,133)	-0,21 (0,158)	LS MD
95 %-KI	-0,382; 0,193	-0,549; 0,133	0,11 [-0,372; 0,599] 0,6211
2			
n/N (%)	40/43 (93)	12/12 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,12 (0,822)	0,33 (0,651)	-0,57 [-1,228; 0,082]
LS MW (SE)	-0,13 (0,111)	0,34 (0,204)	LS MD
95 %-KI	-0,351; 0,096	-0,068; 0,752	-0,47 [-0,938; -0,001] 0,0497
3			



PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Algluco- sidade alfa/Placebo	
N	85	38	-
n/N (%)	21/26 (81)	14/15 (93)	Hedges` g
MW (SD)	0,05 (0,865)	0,07 (0,616)	-0,03 [-0,706; 0,646]
LS MW (SE)	-0,04 (0,175)	0,20 (0,219)	LS MD
95 %-KI	-0,396; 0,322	-0,251; 0,648	-0,24 [-0,842; 0,371] 0,4330
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	34/42 (81)	17/19 (89)	Hedges` g
MW (SD)	-0,15 (0,784)	0,12 (0,600)	-0,36 [-0,944; 0,229]
LS MW (SE)	-0,12 (0,118)	0,07 (0,171)	LS MD
95 %-KI	-0,362; 0,116	-0,276; 0,415	-0,19 [-0,626; 0,241] 0,3758
2			
n/N (%)	39/43 (91)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,03 (0,778)	0,11 (0,676)	-0,18 [-0,740; 0,379]
LS MW (SE)	-0,05 (0,113)	0,15 (0,166)	LS MD
95 %-KI	-0,272; 0,181	-0,180; 0,489	-0,20 [-0,606; 0,207] 0,3283
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	36/42 (86)	16/17 (94)	Hedges` g
MW (SD)	0,06 (0,754)	0,31 (0,704)	-0,34 [-0,935; 0,251]

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
LS MW (SE)	0,06 (0,117)	0,30 (0,178)	LS MD
95 %-KI	-0,177; 0,296	-0,054; 0,662	-0,24 [-0,678; 0,189] 0,2620
2			
n/N (%)	37/43 (86)	19/21 (90)	Hedges` g
MW (SD)	-0,22 (0,787)	-0,05 (0,524)	-0,23 [-0,782; 0,328]
LS MW (SE)	-0,22 (0,114)	-0,04 (0,163)	LS MD
95 %-KI	-0,454; 0,006	-0,365; 0,290	-0,19 [-0,597; 0,225] 0,3679
<p><sup>a</sup>Die Veränderung der Punktwerte gegenüber Baseline plus 95 %-KI und p-Wert zu jedem spezifizierten Zeitpunkt wurden mit einer ANCOVA, stratifiziert nach Geschlecht, Alter, Gewicht und Größe zu Baseline und ERT-Status mit dem Baseline-Wert der jeweiligen Skala als Kovariate auf Basis der Mittelwerte der kleinsten Quadrate analysiert.durch die gepoolte Standardabweichung.</p> <p>ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; LS MD: Mittelwertdifferenz der kleinsten Quadrate; LS MW (SE): Mittelwert der kleinsten Quadrate (Standardfehler); MW (SD): Mittelwert (Standardabweichung); N: Patienten mit Baselinewert; n: Anzahl der Patienten mit Baselinewert in der Analyse</p>			

**35.7.1.06.03.1. Veränderung des GSGC-Wertes - Treppen****35.7.1.06.03.1. Veränderung des GSGC-Wertes - Treppen: Interaktionstest**

<b>Veränderung des GSGC-Wertes - Treppen: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,8280
02	0,0087
03	0,0358
04	0,0487
05	0,1519
06	0,8290
07	0,1589
08	0,3941
09	0,0003
10	0,1146

*<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.*

*In dem Interaktionstest bei Subgruppe 09 ERT-Dauer wird die Variable ERT-Status aus dem Model entfernt, da es keine Dauer der ERT Behandlung für ERT naive Patienten gibt*

**35.7.1.06.03.1. Veränderung des GSGC-Wertes - Treppen: Subgruppenanalyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>Veränderung des GSGC-Wertes - Treppen</b>			
Baseline-Werte			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	34/36 (94)	18/20 (90)	-
MW (SD)	2,99 (1,886)	3,28 (1,994)	
2			
n/N (%)	46/49 (94)	17/18 (94)	-
MW (SD)	4,11 (1,538)	3,65 (1,693)	
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	13/16 (81)	9/11 (82)	-
MW (SD)	2,85 (1,676)	3,44 (1,878)	
2			
n/N (%)	43/43 (100)	11/12 (92)	-
MW (SD)	3,69 (1,819)	3,45 (1,968)	
3			
n/N (%)	24/26 (92)	15/15 (100)	-
MW (SD)	3,96 (1,681)	3,47 (1,846)	
<b>07</b>			
1			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
<b>N</b>	<b>85</b>	<b>38</b>	-
n/N (%)	37/42 (88)	17/19 (89)	-
MW (SD)	4,45 (1,450)	4,18 (1,425)	
<b>2</b>			
n/N (%)	43/43 (100)	18/19 (95)	-
MW (SD)	2,93 (1,737)	2,78 (1,957)	
<b>08</b>			
<b>1</b>			
n/N (%)	40/42 (95)	16/17 (94)	-
MW (SD)	4,07 (1,641)	3,75 (1,693)	
<b>2</b>			
n/N (%)	40/43 (93)	19/21 (90)	-
MW (SD)	3,20 (1,814)	3,21 (1,960)	
Änderung zu Woche 12			
<b>01</b>			
<b>1</b>			
n/N (%)	33/36 (92)	17/20 (85)	Hedges` g
MW (SD)	-0,20 (0,933)	0,12 (0,485)	-0,39 [-0,976; 0,205]
LS MW (SE)	-0,21 (0,143)	0,14 (0,202)	LS MD
95 %-KI	-0,498; 0,077	-0,270; 0,546	-0,35 [-0,859; 0,162] 0,1761
<b>2</b>			
n/N (%)	43/49 (88)	17/18 (94)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Alglucosidade alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	-0,16 (1,132)	0,00 (0,354)	-0,16 [-0,726; 0,399]
LS MW (SE)	-0,10 (0,151)	-0,15 (0,246)	LS MD
95 %-KI	-0,405; 0,200	-0,647; 0,340	0,05 [-0,541; 0,643] 0,8634
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	12/16 (75)	8/11 (73)	Hedges` g
MW (SD)	-0,08 (0,996)	0,25 (0,707)	-0,36 [-1,260; 0,546]
LS MW (SE)	-0,05 (0,292)	0,20 (0,376)	LS MD
95 %-KI	-0,685; 0,589	-0,621; 1,016	-0,25 [-1,395; 0,903] 0,6492
2			
n/N (%)	41/43 (95)	11/12 (92)	Hedges` g
MW (SD)	0,03 (0,853)	0,00 (0,000)	NA [ NA; NA]
LS MW (SE)	0,03 (0,119)	0,01 (0,232)	LS MD
95 %-KI	-0,209; 0,272	-0,459; 0,477	0,02 [-0,506; 0,552] 0,9315
3			
n/N (%)	23/26 (88)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,61 (1,270)	0,00 (0,378)	-0,58 [-1,249; 0,081]
LS MW (SE)	-0,52 (0,223)	-0,14 (0,283)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-0,976; -0,063	-0,715; 0,442	-0,38 [-1,157; 0,390] 0,3196
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	34/42 (81)	16/19 (84)	Hedges` g
MW (SD)	-0,25 (0,870)	0,06 (0,250)	-0,42 [-1,023; 0,178]
LS MW (SE)	-0,22 (0,131)	-0,01 (0,197)	LS MD
95 %-KI	-0,483; 0,044	-0,405; 0,389	-0,21 [-0,708; 0,283] 0,3926
2			
n/N (%)	42/43 (98)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,12 (1,173)	0,06 (0,539)	-0,17 [-0,721; 0,385]
LS MW (SE)	-0,10 (0,163)	0,02 (0,250)	LS MD
95 %-KI	-0,428; 0,225	-0,486; 0,516	-0,12 [-0,718; 0,484] 0,6977
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	37/42 (88)	15/17 (88)	Hedges` g
MW (SD)	-0,29 (0,945)	0,13 (0,516)	-0,49 [-1,096; 0,120]
LS MW (SE)	-0,26 (0,131)	0,06 (0,208)	LS MD
95 %-KI	-0,520; 0,009	-0,363; 0,477	-0,31 [-0,813; 0,189] 0,2156

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
2			
n/N (%)	39/43 (91)	19/21 (90)	Hedges` g
MW (SD)	-0,08 (1,133)	0,00 (0,333)	-0,08 [-0,628; 0,469]
LS MW (SE)	-0,10 (0,160)	0,04 (0,234)	LS MD
95 %-KI	-0,419; 0,223	-0,427; 0,514	-0,14 [-0,729; 0,445] 0,6295
Änderung zu Woche 26			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	25/36 (69)	16/20 (80)	Hedges` g
MW (SD)	-0,32 (1,314)	0,19 (1,223)	-0,39 [-1,023; 0,245]
LS MW (SE)	-0,36 (0,257)	0,25 (0,326)	LS MD
95 %-KI	-0,883; 0,163	-0,413; 0,914	-0,61 [-1,481; 0,259] 0,1627
2			
n/N (%)	41/49 (84)	14/18 (78)	Hedges` g
MW (SD)	-0,24 (0,916)	0,29 (0,825)	-0,58 [-1,201; 0,034]
LS MW (SE)	-0,18 (0,142)	0,09 (0,255)	LS MD
95 %-KI	-0,463; 0,109	-0,424; 0,603	-0,27 [-0,875; 0,342] 0,3831
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	12/16 (75)	9/11 (82)	Hedges` g



PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	0,00 (1,279)	0,33 (1,323)	-0,25 [-1,115; 0,622]
LS MW (SE)	-0,15 (0,464)	0,53 (0,556)	LS MD
95 %-KI	-1,153; 0,851	-0,666; 1,736	-0,69 [-2,438; 1,066] 0,4131
2			
n/N (%)	31/43 (72)	6/12 (50)	Hedges` g
MW (SD)	-0,26 (0,930)	-0,17 (0,408)	-0,10 [-0,977; 0,772]
LS MW (SE)	-0,24 (0,159)	-0,26 (0,377)	LS MD
95 %-KI	-0,565; 0,086	-1,033; 0,511	0,02 [-0,831; 0,872] 0,9606
3			
n/N (%)	23/26 (88)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,43 (1,161)	0,33 (1,047)	-0,67 [-1,343; -0,003]
LS MW (SE)	-0,39 (0,255)	0,26 (0,322)	LS MD
95 %-KI	-0,908; 0,134	-0,398; 0,918	-0,65 [-1,524; 0,229] 0,1418
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	31/42 (74)	14/19 (74)	Hedges` g
MW (SD)	-0,10 (0,908)	0,21 (0,893)	-0,34 [-0,974; 0,297]
LS MW (SE)	-0,08 (0,153)	0,18 (0,237)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-0,391; 0,228	-0,300; 0,661	-0,26 [-0,858; 0,334] 0,3792
2			
n/N (%)	35/43 (81)	16/19 (84)	Hedges` g
MW (SD)	-0,43 (1,195)	0,25 (1,183)	-0,56 [-1,163; 0,042]
LS MW (SE)	-0,42 (0,200)	0,23 (0,299)	LS MD
95 %-KI	-0,821; -0,015	-0,375; 0,830	-0,65 [-1,379; 0,088] 0,0829
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	34/42 (81)	14/17 (82)	Hedges` g
MW (SD)	-0,32 (1,199)	0,29 (0,994)	-0,52 [-1,155; 0,109]
LS MW (SE)	-0,29 (0,199)	0,21 (0,315)	LS MD
95 %-KI	-0,697; 0,108	-0,422; 0,852	-0,51 [-1,275; 0,256] 0,1864
2			
n/N (%)	32/43 (74)	16/21 (76)	Hedges` g
MW (SD)	-0,22 (0,941)	0,19 (1,109)	-0,40 [-1,006; 0,206]
LS MW (SE)	-0,24 (0,173)	0,23 (0,250)	LS MD
95 %-KI	-0,588; 0,110	-0,278; 0,734	-0,47 [-1,102; 0,169] 0,1455
Änderung zu Woche 38			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	29/36 (81)	14/20 (70)	Hedges` g
MW (SD)	-0,12 (1,221)	0,36 (1,216)	-0,39 [-1,031; 0,256]
LS MW (SE)	-0,17 (0,214)	0,45 (0,314)	LS MD
95 %-KI	-0,600; 0,267	-0,193; 1,083	-0,61 [-1,405; 0,181] 0,1263
2			
n/N (%)	36/49 (73)	15/18 (83)	Hedges` g
MW (SD)	-0,42 (1,131)	0,13 (0,640)	-0,53 [-1,145; 0,078]
LS MW (SE)	-0,38 (0,179)	0,05 (0,292)	LS MD
95 %-KI	-0,743; -0,023	-0,536; 0,640	-0,44 [-1,160; 0,290] 0,2327
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	9/16 (56)	8/11 (73)	Hedges` g
MW (SD)	0,11 (1,537)	0,38 (1,061)	-0,19 [-1,143; 0,768]
LS MW (SE)	0,05 (0,478)	0,44 (0,516)	LS MD
95 %-KI	-1,030; 1,131	-0,723; 1,609	-0,39 [-2,202; 1,418] 0,6359
2			
n/N (%)	36/43 (84)	7/12 (58)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	-0,32 (1,075)	0,00 (0,000)	NA [ NA; NA]
LS MW (SE)	-0,30 (0,172)	-0,11 (0,405)	LS MD
95 %-KI	-0,650; 0,049	-0,934; 0,711	-0,19 [-1,096; 0,717] 0,6745
<b>3</b>			
n/N (%)	20/26 (77)	14/15 (93)	Hedges` g
MW (SD)	-0,40 (1,188)	0,29 (1,139)	-0,57 [-1,271; 0,125]
LS MW (SE)	-0,43 (0,284)	0,32 (0,346)	LS MD
95 %-KI	-1,010; 0,157	-0,388; 1,035	-0,75 [-1,717; 0,218] 0,1232
<b>07</b>			
<b>1</b>			
n/N (%)	29/42 (69)	14/19 (74)	Hedges` g
MW (SD)	-0,19 (1,119)	0,21 (0,579)	-0,41 [-1,052; 0,236]
LS MW (SE)	-0,20 (0,186)	0,22 (0,277)	LS MD
95 %-KI	-0,574; 0,180	-0,340; 0,786	-0,42 [-1,128; 0,289] 0,2370
<b>2</b>			
n/N (%)	36/43 (84)	15/19 (79)	Hedges` g
MW (SD)	-0,36 (1,222)	0,27 (1,223)	-0,51 [-1,117; 0,105]
LS MW (SE)	-0,37 (0,199)	0,29 (0,315)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-0,772; 0,029	-0,343; 0,927	-0,66 [-1,432; 0,104] 0,0885
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	30/42 (71)	15/17 (88)	Hedges` g
MW (SD)	-0,32 (1,247)	0,33 (0,724)	-0,58 [-1,214; 0,051]
LS MW (SE)	-0,33 (0,201)	0,35 (0,290)	LS MD
95 %-KI	-0,739; 0,077	-0,233; 0,943	-0,69 [-1,420; 0,048] 0,0663
2			
n/N (%)	35/43 (81)	14/21 (67)	Hedges` g
MW (SD)	-0,26 (1,120)	0,14 (1,167)	-0,35 [-0,971; 0,277]
LS MW (SE)	-0,26 (0,196)	0,15 (0,322)	LS MD
95 %-KI	-0,657; 0,136	-0,499; 0,802	-0,41 [-1,201; 0,376] 0,2973
Änderung zu Woche 52			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	28/36 (78)	15/20 (75)	Hedges` g
MW (SD)	-0,09 (1,035)	0,33 (1,175)	-0,39 [-1,019; 0,247]
LS MW (SE)	-0,15 (0,203)	0,43 (0,280)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-0,556; 0,266	-0,138; 0,999	-0,58 [-1,290; 0,138] 0,1106
2			
n/N (%)	39/49 (80)	15/18 (83)	Hedges` g
MW (SD)	-0,44 (1,252)	0,13 (0,516)	-0,51 [-1,112; 0,095]
LS MW (SE)	-0,40 (0,181)	0,03 (0,306)	LS MD
95 %-KI	-0,762; -0,033	-0,581; 0,649	-0,43 [-1,175; 0,311] 0,2480
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	10/16 (62)	8/11 (73)	Hedges` g
MW (SD)	-0,30 (1,703)	0,12 (0,835)	-0,29 [-1,227; 0,645]
LS MW (SE)	-0,44 (0,496)	0,29 (0,579)	LS MD
95 %-KI	-1,541; 0,670	-0,995; 1,584	-0,73 [-2,720; 1,260] 0,4327
2			
n/N (%)	37/43 (86)	9/12 (75)	Hedges` g
MW (SD)	-0,12 (0,792)	0,11 (0,333)	-0,32 [-1,048; 0,415]
LS MW (SE)	-0,12 (0,125)	0,09 (0,258)	LS MD
95 %-KI	-0,372; 0,132	-0,429; 0,616	-0,21 [-0,800; 0,373] 0,4649
3			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
n/N (%)	20/26 (77)	13/15 (87)	Hedges` g
MW (SD)	-0,60 (1,429)	0,38 (1,193)	-0,72 [-1,438; 0,007]
LS MW (SE)	-0,56 (0,338)	0,32 (0,429)	LS MD
95 %-KI	-1,254; 0,136	-0,562; 1,204	-0,88 [-2,062; 0,302] 0,1379
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	30/42 (71)	14/19 (74)	Hedges` g
MW (SD)	0,01 (0,874)	0,07 (0,475)	-0,07 [-0,708; 0,561]
LS MW (SE)	0,02 (0,149)	0,06 (0,227)	LS MD
95 %-KI	-0,284; 0,320	-0,398; 0,521	-0,04 [-0,618; 0,531] 0,8790
2			
n/N (%)	37/43 (86)	16/19 (84)	Hedges` g
MW (SD)	-0,54 (1,325)	0,38 (1,147)	-0,71 [-1,310; -0,104]
LS MW (SE)	-0,53 (0,209)	0,35 (0,321)	LS MD
95 %-KI	-0,950; -0,110	-0,297; 0,998	-0,88 [-1,663; -0,098] 0,0283
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	32/42 (76)	15/17 (88)	Hedges` g
MW (SD)	-0,36 (1,391)	0,13 (0,640)	-0,40 [-1,023; 0,216]

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
LS MW (SE)	-0,35 (0,216)	0,10 (0,321)	LS MD
95 %-KI	-0,786; 0,090	-0,547; 0,752	-0,45 [-1,248; 0,347] 0,2598
2			
n/N (%)	35/43 (81)	15/21 (71)	Hedges` g
MW (SD)	-0,23 (0,942)	0,33 (1,113)	-0,56 [-1,171; 0,059]
LS MW (SE)	-0,25 (0,176)	0,37 (0,276)	LS MD
95 %-KI	-0,601; 0,110	-0,185; 0,931	-0,62 [-1,298; 0,062] 0,0738
<p><sup>a</sup>Die Veränderung der Punktwerte gegenüber Baseline plus 95 %-KI und p-Wert zu jedem spezifizierten Zeitpunkt wurden mit einer ANCOVA, stratifiziert nach Geschlecht, Alter, Gewicht und Größe zu Baseline und ERT-Status mit dem Baseline-Wert der jeweiligen Skala als Kovariate auf Basis der Mittelwerte der kleinsten Quadrate analysiert.durch die gepoolte Standardabweichung.</p> <p>ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; LS MD: Mittelwertdifferenz der kleinsten Quadrate; LS MW (SE): Mittelwert der kleinsten Quadrate (Standardfehler); MW (SD): Mittelwert (Standardabweichung); N: Patienten mit Baselinewert; n: Anzahl der Patienten mit Baselinewert in der Analyse</p>			



**35.7.1.06.04.1. Veränderung des GSGC-Wertes - Gowers Manöver****35.7.1.06.04.1. Veränderung des GSGC-Wertes - Gowers Manöver: Interaktionstest**

<b>Veränderung des GSGC-Wertes - Gowers Manöver: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,0103
02	0,0367
03	0,0024
04	0,0285
05	0,6403
06	0,4127
07	0,0394
08	0,1032
09	0,7894
10	0,8195
<p><i><sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i></p> <p><i>In dem Interaktionstest bei Subgruppe 09 ERT-Dauer wird die Variable ERT-Status aus dem Model entfernt, da es keine Dauer der ERT Behandlung für ERT naive Patienten gibt</i></p>	

**35.7.1.06.04.1. Veränderung des GSGC-Wertes - Gowers Manöver: Subgruppenanalyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglicosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>Veränderung des GSGC-Wertes - Gowers Manöver</b>			
Baseline-Werte			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	31/36 (86)	16/20 (80)	-
MW (SD)	4,02 (1,676)	4,25 (1,571)	
2			
n/N (%)	41/49 (84)	15/18 (83)	-
MW (SD)	4,71 (1,597)	4,80 (1,521)	
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	30/42 (71)	13/19 (68)	-
MW (SD)	5,23 (1,607)	5,46 (1,330)	
2			
n/N (%)	42/43 (98)	18/19 (95)	-
MW (SD)	3,82 (1,439)	3,83 (1,339)	
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	34/42 (81)	13/17 (76)	-
MW (SD)	4,82 (1,600)	5,23 (1,235)	
2			

Medizinischer Nutzen, medizinischer Zusatznutzen, Patientengruppen mit therap. bedeutsamem Zusatznutzen

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
n/N (%)	38/43 (88)	18/21 (86)	
MW (SD)	4,04 (1,637)	4,00 (1,572)	-
Änderung zu Woche 12			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	31/36 (86)	16/20 (80)	Hedges` g
MW (SD)	0,08 (0,984)	0,38 (1,025)	-0,29 [-0,897; 0,316]
LS MW (SE)	0,06 (0,152)	0,42 (0,215)	LS MD
95 %-KI	-0,252; 0,363	-0,012; 0,858	-0,37 [-0,913; 0,177] 0,1803
2			
n/N (%)	37/49 (76)	14/18 (78)	Hedges` g
MW (SD)	0,31 (0,828)	0,00 (0,961)	0,35 [-0,265; 0,973]
LS MW (SE)	0,33 (0,124)	-0,04 (0,205)	LS MD
95 %-KI	0,075; 0,576	-0,453; 0,375	0,36 [-0,127; 0,855] 0,1420
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	27/42 (64)	12/19 (63)	Hedges` g
MW (SD)	0,06 (0,738)	0,00 (0,853)	0,07 [-0,610; 0,751]
LS MW (SE)	0,04 (0,142)	0,04 (0,219)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-0,250; 0,329	-0,410; 0,482	0,00 [-0,543; 0,550] 0,9903
2			
n/N (%)	41/43 (95)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	0,30 (0,993)	0,33 (1,085)	-0,03 [-0,582; 0,527]
LS MW (SE)	0,31 (0,138)	0,32 (0,210)	LS MD
95 %-KI	0,032; 0,588	-0,099; 0,743	-0,01 [-0,520; 0,495] 0,9615
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	31/42 (74)	12/17 (71)	Hedges` g
MW (SD)	0,27 (1,048)	-0,08 (0,996)	0,34 [-0,331; 1,010]
LS MW (SE)	0,22 (0,155)	0,06 (0,251)	LS MD
95 %-KI	-0,095; 0,533	-0,449; 0,569	0,16 [-0,444; 0,762] 0,5954
2			
n/N (%)	37/43 (86)	18/21 (86)	Hedges` g
MW (SD)	0,15 (0,772)	0,39 (0,979)	-0,28 [-0,847; 0,285]
LS MW (SE)	0,17 (0,129)	0,34 (0,188)	LS MD
95 %-KI	-0,085; 0,432	-0,040; 0,716	-0,16 [-0,633; 0,305] 0,4850
Änderung zu Woche 26			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	21/36 (58)	16/20 (80)	Hedges` g
MW (SD)	-0,05 (1,071)	0,56 (1,031)	-0,57 [-1,231; 0,098]
LS MW (SE)	-0,15 (0,203)	0,69 (0,235)	LS MD
95 %-KI	-0,562; 0,268	0,213; 1,172	-0,84 [-1,495; -0,184] 0,0138
2			
n/N (%)	38/49 (78)	12/18 (67)	Hedges` g
MW (SD)	0,12 (0,748)	-0,25 (0,866)	0,47 [-0,189; 1,123]
LS MW (SE)	0,13 (0,119)	-0,28 (0,222)	LS MD
95 %-KI	-0,111; 0,369	-0,732; 0,165	0,41 [-0,113; 0,938] 0,1209
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	25/42 (60)	11/19 (58)	Hedges` g
MW (SD)	-0,02 (0,510)	-0,09 (0,831)	0,11 [-0,598; 0,821]
LS MW (SE)	-0,03 (0,137)	-0,07 (0,218)	LS MD
95 %-KI	-0,310; 0,254	-0,520; 0,374	0,04 [-0,511; 0,601] 0,8698
2			
n/N (%)	34/43 (79)	17/19 (89)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	0,12 (1,066)	0,41 (1,121)	-0,27 [-0,852; 0,318]
LS MW (SE)	0,09 (0,163)	0,47 (0,232)	LS MD
95 %-KI	-0,240; 0,416	0,002; 0,940	-0,38 [-0,964; 0,197] 0,1898
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	29/42 (69)	11/17 (65)	Hedges` g
MW (SD)	0,14 (0,953)	0,09 (0,831)	0,05 [-0,644; 0,744]
LS MW (SE)	0,11 (0,158)	0,17 (0,266)	LS MD
95 %-KI	-0,214; 0,431	-0,373; 0,710	-0,06 [-0,707; 0,588] 0,8520
2			
n/N (%)	30/43 (70)	17/21 (81)	Hedges` g
MW (SD)	-0,02 (0,793)	0,29 (1,160)	-0,33 [-0,924; 0,274]
LS MW (SE)	-0,02 (0,168)	0,30 (0,228)	LS MD
95 %-KI	-0,362; 0,319	-0,159; 0,764	-0,32 [-0,917; 0,270] 0,2763
Änderung zu Woche 38			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	25/36 (69)	13/20 (65)	Hedges` g
MW (SD)	-0,08 (0,997)	0,00 (1,000)	-0,08 [-0,749; 0,592]

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
LS MW (SE)	-0,08 (0,174)	-0,00 (0,245)	LS MD
95 %-KI	-0,432; 0,276	-0,504; 0,497	-0,07 [-0,703; 0,555] 0,8120
2			
n/N (%)	35/49 (71)	12/18 (67)	Hedges` g
MW (SD)	0,16 (0,829)	0,08 (0,900)	0,09 [-0,570; 0,742]
LS MW (SE)	0,17 (0,131)	0,04 (0,232)	LS MD
95 %-KI	-0,093; 0,437	-0,429; 0,509	0,13 [-0,421; 0,685] 0,6325
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	24/42 (57)	10/19 (53)	Hedges` g
MW (SD)	0,02 (0,814)	-0,20 (0,919)	0,26 [-0,485; 0,996]
LS MW (SE)	-0,04 (0,160)	-0,07 (0,257)	LS MD
95 %-KI	-0,365; 0,295	-0,593; 0,462	0,03 [-0,611; 0,672] 0,9231
2			
n/N (%)	36/43 (84)	15/19 (79)	Hedges` g
MW (SD)	0,08 (0,967)	0,20 (0,941)	-0,12 [-0,722; 0,483]
LS MW (SE)	0,13 (0,144)	0,10 (0,226)	LS MD
95 %-KI	-0,165; 0,416	-0,357; 0,556	0,03 [-0,522; 0,574] 0,9243

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Algluco- sidade alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	25/42 (60)	10/17 (59)	Hedges` g
MW (SD)	0,20 (1,118)	0,00 (1,155)	0,17 [-0,561; 0,908]
LS MW (SE)	0,16 (0,179)	0,11 (0,287)	LS MD
95 %-KI	-0,210; 0,524	-0,481; 0,697	0,05 [-0,655; 0,753] 0,8881
2			
n/N (%)	35/43 (81)	15/21 (71)	Hedges` g
MW (SD)	-0,04 (0,711)	0,07 (0,799)	-0,15 [-0,752; 0,459]
LS MW (SE)	-0,07 (0,124)	0,14 (0,197)	LS MD
95 %-KI	-0,324; 0,177	-0,260; 0,535	-0,21 [-0,699; 0,277] 0,3877
Änderung zu Woche 52			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	25/36 (69)	14/20 (70)	Hedges` g
MW (SD)	0,12 (1,013)	0,29 (0,914)	-0,17 [-0,821; 0,490]
LS MW (SE)	0,13 (0,177)	0,27 (0,238)	LS MD
95 %-KI	-0,232; 0,488	-0,214; 0,757	-0,14 [-0,757; 0,470] 0,6371
2			
n/N (%)	38/49 (78)	13/18 (72)	Hedges` g



PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	0,05 (1,019)	0,08 (1,115)	-0,02 [-0,653; 0,607]
LS MW (SE)	0,09 (0,164)	-0,03 (0,290)	LS MD
95 %-KI	-0,243; 0,419	-0,611; 0,559	0,11 [-0,575; 0,803] 0,7401
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	27/42 (64)	10/19 (53)	Hedges` g
MW (SD)	0,07 (0,743)	-0,40 (0,966)	0,58 [-0,163; 1,314]
LS MW (SE)	0,07 (0,152)	-0,39 (0,254)	LS MD
95 %-KI	-0,239; 0,383	-0,915; 0,125	0,47 [-0,148; 1,082] 0,1311
2			
n/N (%)	36/43 (84)	17/19 (89)	Hedges` g
MW (SD)	0,08 (1,180)	0,53 (0,874)	-0,40 [-0,984; 0,180]
LS MW (SE)	0,13 (0,160)	0,43 (0,235)	LS MD
95 %-KI	-0,194; 0,452	-0,042; 0,906	-0,30 [-0,883; 0,277] 0,2985
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	28/42 (67)	12/17 (71)	Hedges` g
MW (SD)	0,20 (0,985)	0,08 (0,996)	0,11 [-0,565; 0,789]
LS MW (SE)	0,19 (0,180)	0,09 (0,278)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-0,175; 0,559	-0,473; 0,659	0,10 [-0,582; 0,780] 0,7687
2			
n/N (%)	35/43 (81)	15/21 (71)	Hedges` g
MW (SD)	-0,01 (1,032)	0,27 (1,033)	-0,27 [-0,875; 0,340]
LS MW (SE)	0,06 (0,168)	0,10 (0,265)	LS MD
95 %-KI	-0,284; 0,394	-0,429; 0,639	-0,05 [-0,702; 0,603] 0,8786
<p><sup>a</sup>Die Veränderung der Punktwerte gegenüber Baseline plus 95 %-KI und p-Wert zu jedem spezifizierten Zeitpunkt wurden mit einer ANCOVA, stratifiziert nach Geschlecht, Alter, Gewicht und Größe zu Baseline und ERT-Status mit dem Baseline-Wert der jeweiligen Skala als Kovariate auf Basis der Mittelwerte der kleinsten Quadrate analysiert.durch die gepoolte Standardabweichung.</p> <p>ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; LS MD: Mittelwertdifferenz der kleinsten Quadrate; LS MW (SE): Mittelwert der kleinsten Quadrate (Standardfehler); MW (SD): Mittelwert (Standardabweichung); N: Patienten mit Baselinewert; n: Anzahl der Patienten mit Baselinewert in der Analyse</p>			

**35.7.1.06.05.1. Veränderung des GSGC-Wertes - Stuhl****35.7.1.06.05.1. Veränderung des GSGC-Wertes - Stuhl: Interaktionstest**

<b>Veränderung des GSGC-Wertes - Stuhl: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,0016
02	0,0037
03	0,0052
04	0,1103
05	0,0218
06	0,5318
07	0,0130
08	0,0185
09	0,0084
10	0,0216
<p><i><sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i></p> <p><i>In dem Interaktionstest bei Subgruppe 09 ERT-Dauer wird die Variable ERT-Status aus dem Model entfernt, da es keine Dauer der ERT Behandlung für ERT naive Patienten gibt</i></p>	

**35.7.1.06.05.1. Veränderung des GSGC-Wertes - Stuhl: Subgruppenanalyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>Veränderung des GSGC-Wertes - Stuhl</b>			
Baseline-Werte			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	34/36 (94)	17/20 (85)	-
MW (SD)	3,26 (1,797)	3,59 (1,460)	
2			
n/N (%)	45/49 (92)	18/18 (100)	-
MW (SD)	4,27 (1,321)	4,22 (1,592)	
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	13/16 (81)	10/11 (91)	-
MW (SD)	3,92 (1,706)	4,10 (1,663)	
2			
n/N (%)	42/43 (98)	10/12 (83)	-
MW (SD)	3,79 (1,601)	3,20 (1,751)	
3			
n/N (%)	24/26 (92)	15/15 (100)	-
MW (SD)	3,88 (1,650)	4,27 (1,223)	
<b>07</b>			
1			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
<b>N</b>	<b>85</b>	<b>38</b>	-
n/N (%)	36/42 (86)	17/19 (89)	-
MW (SD)	4,56 (1,157)	4,53 (1,281)	
<b>2</b>			
n/N (%)	43/43 (100)	18/19 (95)	-
MW (SD)	3,23 (1,702)	3,33 (1,572)	
<b>08</b>			
<b>1</b>			
n/N (%)	39/42 (93)	16/17 (94)	-
MW (SD)	4,13 (1,542)	4,44 (1,209)	
<b>2</b>			
n/N (%)	40/43 (93)	19/21 (90)	-
MW (SD)	3,55 (1,648)	3,47 (1,679)	
Änderung zu Woche 12			
<b>01</b>			
<b>1</b>			
n/N (%)	34/36 (94)	17/20 (85)	Hedges` g
MW (SD)	-0,12 (0,880)	0,00 (1,000)	-0,13 [-0,709; 0,457]
LS MW (SE)	-0,16 (0,150)	0,09 (0,217)	LS MD
95 %-KI	-0,462; 0,141	-0,351; 0,523	-0,25 [-0,793; 0,300] 0,3683
<b>2</b>			
n/N (%)	43/49 (88)	18/18 (100)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	-0,14 (0,915)	-0,44 (1,042)	0,32 [-0,237; 0,869]
LS MW (SE)	-0,11 (0,132)	-0,53 (0,209)	LS MD
95 %-KI	-0,370; 0,159	-0,946; -0,107	0,42 [-0,087; 0,930] 0,1026
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	13/16 (81)	10/11 (91)	Hedges` g
MW (SD)	-0,31 (1,377)	-0,40 (0,966)	0,07 [-0,752; 0,898]
LS MW (SE)	-0,54 (0,298)	-0,10 (0,346)	LS MD
95 %-KI	-1,174; 0,097	-0,837; 0,637	-0,44 [-1,472; 0,594] 0,3794
2			
n/N (%)	42/43 (98)	10/12 (83)	Hedges` g
MW (SD)	0,00 (0,733)	-0,20 (0,422)	0,29 [-0,405; 0,979]
LS MW (SE)	0,01 (0,102)	-0,24 (0,211)	LS MD
95 %-KI	-0,195; 0,214	-0,665; 0,186	0,25 [-0,226; 0,724] 0,2967
3			
n/N (%)	22/26 (85)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,27 (0,827)	-0,13 (1,356)	-0,13 [-0,784; 0,530]
LS MW (SE)	-0,37 (0,229)	0,00 (0,281)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-0,834; 0,103	-0,572; 0,577	-0,37 [-1,133; 0,397] 0,3336
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	35/42 (83)	17/19 (89)	Hedges` g
MW (SD)	-0,06 (0,725)	-0,12 (0,485)	0,09 [-0,489; 0,670]
LS MW (SE)	-0,01 (0,095)	-0,21 (0,140)	LS MD
95 %-KI	-0,204; 0,178	-0,490; 0,074	0,19 [-0,158; 0,547] 0,2725
2			
n/N (%)	42/43 (98)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,19 (1,018)	-0,33 (1,372)	0,12 [-0,428; 0,677]
LS MW (SE)	-0,22 (0,160)	-0,26 (0,246)	LS MD
95 %-KI	-0,544; 0,099	-0,751; 0,235	0,04 [-0,556; 0,627] 0,9047
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	38/42 (90)	16/17 (94)	Hedges` g
MW (SD)	-0,24 (0,913)	-0,12 (1,088)	-0,11 [-0,699; 0,471]
LS MW (SE)	-0,28 (0,142)	-0,02 (0,221)	LS MD
95 %-KI	-0,565; 0,005	-0,468; 0,422	-0,26 [-0,792; 0,279] 0,3397

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
2			
n/N (%)	39/43 (91)	19/21 (90)	Hedges` g
MW (SD)	-0,03 (0,873)	-0,32 (1,003)	0,31 [-0,239; 0,864]
LS MW (SE)	-0,04 (0,151)	-0,29 (0,221)	LS MD
95 %-KI	-0,344; 0,263	-0,728; 0,158	0,24 [-0,306; 0,795] 0,3763
Änderung zu Woche 26			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	25/36 (69)	17/20 (85)	Hedges` g
MW (SD)	-0,40 (1,258)	0,24 (0,831)	-0,56 [-1,192; 0,066]
LS MW (SE)	-0,39 (0,211)	0,22 (0,260)	LS MD
95 %-KI	-0,819; 0,038	-0,306; 0,748	-0,61 [-1,316; 0,092] 0,0864
2			
n/N (%)	41/49 (84)	13/18 (72)	Hedges` g
MW (SD)	-0,27 (1,141)	-0,31 (0,947)	0,04 [-0,589; 0,659]
LS MW (SE)	-0,28 (0,169)	-0,26 (0,316)	LS MD
95 %-KI	-0,623; 0,056	-0,896; 0,377	-0,02 [-0,772; 0,723] 0,9481
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	12/16 (75)	10/11 (91)	Hedges` g



PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	-0,42 (1,730)	-0,20 (0,422)	-0,16 [-0,999; 0,682]
LS MW (SE)	-0,61 (0,361)	0,04 (0,401)	LS MD
95 %-KI	-1,389; 0,160	-0,823; 0,898	-0,65 [-1,899; 0,595] 0,2807
2			
n/N (%)	31/43 (72)	7/12 (58)	Hedges` g
MW (SD)	-0,19 (0,873)	0,00 (0,000)	NA [ NA; NA]
LS MW (SE)	-0,19 (0,148)	-0,04 (0,331)	LS MD
95 %-KI	-0,488; 0,118	-0,713; 0,640	-0,15 [-0,910; 0,612] 0,6927
3			
n/N (%)	23/26 (88)	13/15 (87)	Hedges` g
MW (SD)	-0,43 (1,237)	0,15 (1,345)	-0,45 [-1,140; 0,238]
LS MW (SE)	-0,58 (0,241)	0,41 (0,328)	LS MD
95 %-KI	-1,071; -0,085	-0,265; 1,080	-0,99 [-1,853; -0,118] 0,0275
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	30/42 (71)	13/19 (68)	Hedges` g
MW (SD)	0,00 (0,788)	-0,15 (0,555)	0,21 [-0,445; 0,860]
LS MW (SE)	0,03 (0,126)	-0,23 (0,201)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-0,226; 0,288	-0,633; 0,183	0,26 [-0,248; 0,760] 0,3090
2			
n/N (%)	36/43 (84)	17/19 (89)	Hedges` g
MW (SD)	-0,58 (1,381)	0,12 (1,111)	-0,53 [-1,116; 0,056]
LS MW (SE)	-0,65 (0,200)	0,26 (0,294)	LS MD
95 %-KI	-1,051; -0,245	-0,338; 0,848	-0,90 [-1,630; -0,177] 0,0159
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	34/42 (81)	12/17 (71)	Hedges` g
MW (SD)	-0,35 (1,300)	0,25 (1,055)	-0,48 [-1,143; 0,189]
LS MW (SE)	-0,40 (0,205)	0,38 (0,353)	LS MD
95 %-KI	-0,815; 0,016	-0,332; 1,095	-0,78 [-1,620; 0,058] 0,0671
2			
n/N (%)	32/43 (74)	18/21 (86)	Hedges` g
MW (SD)	-0,28 (1,054)	-0,17 (0,786)	-0,12 [-0,694; 0,461]
LS MW (SE)	-0,35 (0,175)	-0,04 (0,238)	LS MD
95 %-KI	-0,706; -0,001	-0,519; 0,441	-0,31 [-0,930; 0,301] 0,3080
Änderung zu Woche 38			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	29/36 (81)	15/20 (75)	Hedges` g
MW (SD)	-0,41 (0,780)	0,20 (1,014)	-0,70 [-1,338; -0,055]
LS MW (SE)	-0,40 (0,168)	0,17 (0,239)	LS MD
95 %-KI	-0,740; -0,060	-0,311; 0,658	-0,57 [-1,185; 0,038] 0,0653
2			
n/N (%)	41/49 (84)	15/18 (83)	Hedges` g
MW (SD)	-0,34 (1,015)	-0,67 (0,976)	0,32 [-0,276; 0,914]
LS MW (SE)	-0,35 (0,149)	-0,64 (0,255)	LS MD
95 %-KI	-0,652; -0,053	-1,150; -0,124	0,28 [-0,326; 0,895] 0,3539
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	11/16 (69)	10/11 (91)	Hedges` g
MW (SD)	-0,36 (1,286)	-0,50 (0,707)	0,12 [-0,733; 0,982]
LS MW (SE)	-0,34 (0,346)	-0,53 (0,366)	LS MD
95 %-KI	-1,087; 0,408	-1,316; 0,263	0,19 [-0,985; 1,358] 0,7362
2			
n/N (%)	38/43 (88)	8/12 (67)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	-0,37 (0,819)	-0,25 (0,463)	-0,15 [-0,914; 0,613]
LS MW (SE)	-0,33 (0,123)	-0,41 (0,276)	LS MD
95 %-KI	-0,584; -0,084	-0,973; 0,144	0,08 [-0,538; 0,700] 0,7929
<b>3</b>			
n/N (%)	21/26 (81)	12/15 (80)	Hedges` g
MW (SD)	-0,38 (0,921)	0,00 (1,537)	-0,32 [-1,030; 0,398]
LS MW (SE)	-0,50 (0,235)	0,21 (0,319)	LS MD
95 %-KI	-0,986; -0,018	-0,445; 0,869	-0,71 [-1,565; 0,138] 0,0967
<b>07</b>			
<b>1</b>			
n/N (%)	32/42 (76)	13/19 (68)	Hedges` g
MW (SD)	-0,31 (0,780)	-0,54 (0,967)	0,27 [-0,382; 0,912]
LS MW (SE)	-0,30 (0,155)	-0,57 (0,253)	LS MD
95 %-KI	-0,612; 0,015	-1,086; -0,059	0,27 [-0,351; 0,900] 0,3799
<b>2</b>			
n/N (%)	38/43 (88)	17/19 (89)	Hedges` g
MW (SD)	-0,42 (1,030)	0,00 (1,118)	-0,39 [-0,969; 0,184]
LS MW (SE)	-0,46 (0,167)	0,09 (0,251)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-0,797; -0,126	-0,415; 0,596	-0,55 [-1,164; 0,061] 0,0763
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	33/42 (79)	13/17 (76)	Hedges` g
MW (SD)	-0,45 (1,003)	0,08 (1,115)	-0,50 [-1,156; 0,146]
LS MW (SE)	-0,47 (0,167)	0,11 (0,271)	LS MD
95 %-KI	-0,806; -0,128	-0,440; 0,658	-0,58 [-1,231; 0,078] 0,0827
2			
n/N (%)	37/43 (86)	17/21 (81)	Hedges` g
MW (SD)	-0,30 (0,845)	-0,47 (1,007)	0,19 [-0,385; 0,766]
LS MW (SE)	-0,34 (0,141)	-0,38 (0,212)	LS MD
95 %-KI	-0,620; -0,053	-0,812; 0,043	0,05 [-0,478; 0,574] 0,8547
Änderung zu Woche 52			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	29/36 (81)	16/20 (80)	Hedges` g
MW (SD)	-0,07 (1,412)	0,44 (0,892)	-0,40 [-1,013; 0,220]
LS MW (SE)	-0,09 (0,203)	0,48 (0,278)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-0,505; 0,318	-0,081; 1,045	-0,58 [-1,291; 0,140] 0,1119
2			
n/N (%)	44/49 (90)	16/18 (89)	Hedges` g
MW (SD)	-0,25 (1,037)	-0,44 (0,964)	0,18 [-0,392; 0,755]
LS MW (SE)	-0,26 (0,142)	-0,41 (0,242)	LS MD
95 %-KI	-0,544; 0,027	-0,900; 0,073	0,15 [-0,422; 0,731] 0,5932
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	12/16 (75)	10/11 (91)	Hedges` g
MW (SD)	-0,25 (1,960)	-0,40 (0,516)	0,10 [-0,743; 0,936]
LS MW (SE)	-0,46 (0,422)	-0,15 (0,469)	LS MD
95 %-KI	-1,360; 0,448	-1,158; 0,852	-0,30 [-1,759; 1,153] 0,6625
2			
n/N (%)	40/43 (93)	10/12 (83)	Hedges` g
MW (SD)	-0,03 (1,000)	0,10 (0,316)	-0,13 [-0,828; 0,559]
LS MW (SE)	-0,00 (0,140)	0,00 (0,284)	LS MD
95 %-KI	-0,283; 0,283	-0,572; 0,573	-0,00 [-0,643; 0,641] 0,9986
3			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
n/N (%)	21/26 (81)	12/15 (80)	Hedges` g
MW (SD)	-0,43 (0,978)	0,25 (1,545)	-0,55 [-1,270; 0,176]
LS MW (SE)	-0,56 (0,255)	0,48 (0,347)	LS MD
95 %-KI	-1,088; -0,035	-0,231; 1,197	-1,04 [-1,969; -0,120] 0,0284
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	34/42 (81)	14/19 (74)	Hedges` g
MW (SD)	0,00 (0,739)	-0,36 (0,929)	0,44 [-0,188; 1,070]
LS MW (SE)	-0,01 (0,118)	-0,32 (0,190)	LS MD
95 %-KI	-0,252; 0,225	-0,707; 0,061	0,31 [-0,157; 0,775] 0,1872
2			
n/N (%)	39/43 (91)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,33 (1,475)	0,28 (1,018)	-0,45 [-1,011; 0,119]
LS MW (SE)	-0,38 (0,202)	0,37 (0,299)	LS MD
95 %-KI	-0,784; 0,028	-0,227; 0,976	-0,75 [-1,484; -0,022] 0,0438
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	36/42 (86)	14/17 (82)	Hedges` g
MW (SD)	-0,22 (1,072)	0,36 (1,008)	-0,54 [-1,168; 0,087]

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
LS MW (SE)	-0,26 (0,146)	0,45 (0,237)	LS MD
95 %-KI	-0,553; 0,034	-0,025; 0,931	-0,71 [-1,281; -0,145] 0,0152
2			
n/N (%)	37/43 (86)	18/21 (86)	Hedges` g
MW (SD)	-0,14 (1,316)	-0,28 (0,958)	0,12 [-0,448; 0,680]
LS MW (SE)	-0,19 (0,188)	-0,17 (0,275)	LS MD
95 %-KI	-0,566; 0,192	-0,723; 0,381	-0,02 [-0,700; 0,668] 0,9628
<p><sup>a</sup>Die Veränderung der Punktwerte gegenüber Baseline plus 95 %-KI und p-Wert zu jedem spezifizierten Zeitpunkt wurden mit einer ANCOVA, stratifiziert nach Geschlecht, Alter, Gewicht und Größe zu Baseline und ERT-Status mit dem Baseline-Wert der jeweiligen Skala als Kovariate auf Basis der Mittelwerte der kleinsten Quadrate analysiert.durch die gepoolte Standardabweichung.</p> <p>ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; LS MD: Mittelwertdifferenz der kleinsten Quadrate; LS MW (SE): Mittelwert der kleinsten Quadrate (Standardfehler); MW (SD): Mittelwert (Standardabweichung); N: Patienten mit Baselinewert; n: Anzahl der Patienten mit Baselinewert in der Analyse</p>			



**35.7.1.06.06.1. Veränderung des GSGC - Zeit, um 10-Meter zu gehen (in Sek)****35.7.1.06.06.1. Veränderung des GSGC - Zeit, um 10-Meter zu gehen (in Sek): Interaktionstest**

<b>Veränderung des GSGC - Zeit, um 10-Meter zu gehen (in Sek): Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,6786
02	0,8187
03	0,6019
04	0,7045
05	0,2006
06	0,8697
07	0,6480
08	0,4617
09	0,5846
10	0,7683

*<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.*

*In dem Interaktionstest bei Subgruppe 09 ERT-Dauer wird die Variable ERT-Status aus dem Model entfernt, da es keine Dauer der ERT Behandlung für ERT naive Patienten gibt*

**35.7.1.06.06.1. Veränderung des GSGC - Zeit, um 10-Meter zu gehen (in Sek): Subgruppenanalyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>Veränderung des GSGC - Zeit, um 10-Meter zu gehen (in Sek)</b>			
Baseline-Werte			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	34/36 (94)	19/20 (95)	-
MW (SD)	7,54 (2,368)	8,48 (3,110)	
2			
n/N (%)	46/49 (94)	17/18 (94)	-
MW (SD)	11,26 (9,598)	10,70 (7,152)	
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	13/16 (81)	9/11 (82)	-
MW (SD)	8,25 (2,385)	7,77 (1,609)	
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	-
MW (SD)	9,44 (6,317)	9,45 (4,222)	
3			
n/N (%)	24/26 (92)	15/15 (100)	-
MW (SD)	10,87 (11,022)	10,65 (7,430)	
<b>07</b>			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
<b>N</b>	<b>85</b>	<b>38</b>	-
1			
n/N (%)	37/42 (88)	18/19 (95)	-
MW (SD)	13,02 (10,210)	12,43 (6,440)	
2			
n/N (%)	43/43 (100)	18/19 (95)	-
MW (SD)	6,80 (1,368)	6,63 (1,286)	
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	40/42 (95)	16/17 (94)	-
MW (SD)	11,61 (10,180)	11,58 (6,935)	
2			
n/N (%)	40/43 (93)	20/21 (95)	-
MW (SD)	7,75 (2,592)	7,90 (3,203)	
Änderung zu Woche 12			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	34/36 (94)	19/20 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,22 (0,943)	0,47 (1,775)	-0,52 [-1,096; 0,046]
LS MW (SE)	-0,16 (0,220)	0,35 (0,301)	LS MD
95 %-KI	-0,599; 0,287	-0,258; 0,954	-0,50 [-1,280; 0,272] 0,1978
2			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
n/N (%)	46/49 (94)	17/18 (94)	Hedges` g
MW (SD)	12,23 (87,635)	-1,52 (6,895)	0,18 [-0,377; 0,738]
LS MW (SE)	10,45 (11,406)	3,31 (19,190)	LS MD
95 %-KI	-12,403; 33,294	-35,136; 41,750	7,14 [-38,429; 52,706] 0,7548
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	13/16 (81)	9/11 (82)	Hedges` g
MW (SD)	-0,48 (0,901)	0,16 (0,994)	-0,66 [-1,532; 0,221]
LS MW (SE)	-0,45 (0,189)	0,11 (0,234)	LS MD
95 %-KI	-0,856; -0,044	-0,396; 0,607	-0,56 [-1,246; 0,135] 0,1067
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges` g
MW (SD)	14,06 (90,231)	0,63 (2,147)	0,16 [-0,476; 0,806]
LS MW (SE)	15,16 (12,454)	-3,31 (23,710)	LS MD
95 %-KI	-9,893; 40,216	-51,010; 44,387	18,47 [-35,591; 72,536] 0,4952
3			
n/N (%)	24/26 (92)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-1,81 (9,236)	-1,73 (7,332)	-0,01 [-0,654; 0,636]
LS MW (SE)	-1,70 (0,980)	-1,90 (1,262)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-3,700; 0,299	-4,474; 0,676	0,20 [-3,178; 3,575] 0,9052
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	37/42 (88)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	15,19 (97,746)	-1,04 (6,982)	0,20 [-0,366; 0,763]
LS MW (SE)	13,13 (13,650)	3,20 (20,089)	LS MD
95 %-KI	-14,336; 40,586	-37,210; 43,617	9,92 [-40,525; 60,369] 0,6941
2			
n/N (%)	43/43 (100)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,16 (0,621)	0,09 (0,864)	-0,36 [-0,917; 0,191]
LS MW (SE)	-0,15 (0,108)	0,08 (0,168)	LS MD
95 %-KI	-0,372; 0,062	-0,262; 0,413	-0,23 [-0,633; 0,173] 0,2578
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	40/42 (95)	16/17 (94)	Hedges` g
MW (SD)	-0,70 (8,312)	-1,49 (7,137)	0,10 [-0,483; 0,677]
LS MW (SE)	-0,75 (1,018)	-1,35 (1,619)	LS MD
95 %-KI	-2,799; 1,292	-4,610; 1,903	0,60 [-3,269; 4,469] 0,7566

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
2			
n/N (%)	40/43 (93)	20/21 (95)	Hedges` g
MW (SD)	14,57 (93,548)	0,34 (1,763)	0,18 [-0,355; 0,721]
LS MW (SE)	13,39 (12,654)	2,70 (18,290)	LS MD
95 %-KI	-11,997; 38,786	-34,001; 39,403	10,69 [-35,208; 56,595] 0,6421
Änderung zu Woche 26			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	34/36 (94)	19/20 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,36 (1,010)	0,25 (2,087)	-0,41 [-0,977; 0,157]
LS MW (SE)	-0,34 (0,268)	0,21 (0,367)	LS MD
95 %-KI	-0,883; 0,198	-0,525; 0,951	-0,56 [-1,501; 0,390] 0,2429
2			
n/N (%)	46/49 (94)	17/18 (94)	Hedges` g
MW (SD)	-1,01 (7,486)	-0,86 (4,478)	-0,02 [-0,577; 0,535]
LS MW (SE)	-0,96 (0,754)	-0,99 (1,268)	LS MD
95 %-KI	-2,473; 0,547	-3,530; 1,551	0,03 [-2,985; 3,038] 0,9860
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	13/16 (81)	9/11 (82)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	-0,57 (1,051)	0,20 (0,915)	-0,74 [-1,624; 0,143]
LS MW (SE)	-0,50 (0,222)	0,10 (0,275)	LS MD
95 %-KI	-0,979; -0,025	-0,487; 0,692	-0,61 [-1,417; 0,207] 0,1324
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,07 (2,923)	0,36 (2,555)	-0,10 [-0,740; 0,540]
LS MW (SE)	0,05 (0,447)	0,42 (0,851)	LS MD
95 %-KI	-0,848; 0,951	-1,290; 2,136	-0,37 [-2,312; 1,570] 0,7023
3			
n/N (%)	24/26 (92)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-2,27 (9,572)	-1,07 (4,749)	-0,15 [-0,791; 0,501]
LS MW (SE)	-2,32 (0,792)	-0,97 (1,020)	LS MD
95 %-KI	-3,940; -0,709	-3,054; 1,105	-1,35 [-4,077; 1,378] 0,3206
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	37/42 (88)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-1,16 (8,389)	-0,58 (4,835)	-0,08 [-0,640; 0,487]
LS MW (SE)	-1,20 (0,939)	-0,51 (1,382)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-3,087; 0,692	-3,292; 2,270	-0,69 [-4,158; 2,785] 0,6926
2			
n/N (%)	43/43 (100)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,37 (0,647)	0,03 (0,754)	-0,58 [-1,143; -0,022]
LS MW (SE)	-0,37 (0,093)	0,04 (0,144)	LS MD
95 %-KI	-0,556; -0,184	-0,250; 0,328	-0,41 [-0,754; -0,063] 0,0212
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	40/42 (95)	16/17 (94)	Hedges` g
MW (SD)	-1,26 (7,998)	-0,75 (4,671)	-0,07 [-0,649; 0,511]
LS MW (SE)	-1,33 (0,821)	-0,57 (1,306)	LS MD
95 %-KI	-2,981; 0,319	-3,192; 2,060	-0,77 [-3,886; 2,356] 0,6244
2			
n/N (%)	40/43 (93)	20/21 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,21 (1,101)	0,10 (2,008)	-0,21 [-0,753; 0,324]
LS MW (SE)	-0,22 (0,241)	0,13 (0,349)	LS MD
95 %-KI	-0,707; 0,262	-0,575; 0,826	-0,35 [-1,224; 0,528] 0,4287
Änderung zu Woche 38			



PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	34/36 (94)	19/20 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,30 (1,018)	0,50 (3,116)	-0,39 [-0,957; 0,176]
LS MW (SE)	-0,18 (0,342)	0,28 (0,467)	LS MD
95 %-KI	-0,866; 0,510	-0,664; 1,216	-0,45 [-1,657; 0,750] 0,4519
2			
n/N (%)	46/49 (94)	17/18 (94)	Hedges` g
MW (SD)	-1,01 (7,233)	0,39 (1,178)	-0,22 [-0,779; 0,336]
LS MW (SE)	-1,00 (0,693)	0,34 (1,166)	LS MD
95 %-KI	-2,385; 0,392	-1,993; 2,680	-1,34 [-4,110; 1,429] 0,3365
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	13/16 (81)	9/11 (82)	Hedges` g
MW (SD)	-0,32 (0,949)	0,07 (1,225)	-0,35 [-1,209; 0,506]
LS MW (SE)	-0,33 (0,222)	0,07 (0,275)	LS MD
95 %-KI	-0,805; 0,149	-0,516; 0,663	-0,40 [-1,213; 0,411] 0,3075
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	0,08 (2,058)	0,68 (3,882)	-0,23 [-0,872; 0,411]
LS MW (SE)	0,06 (0,408)	0,76 (0,776)	LS MD
95 %-KI	-0,765; 0,875	-0,801; 2,323	-0,71 [-2,476; 1,064] 0,4263
<b>3</b>			
n/N (%)	24/26 (92)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-2,34 (9,595)	0,49 (1,116)	-0,37 [-1,016; 0,286]
LS MW (SE)	-2,68 (0,906)	1,04 (1,167)	LS MD
95 %-KI	-4,528; -0,831	-1,339; 3,421	-3,72 [-6,842; -0,600] 0,0210
<b>07</b>			
<b>1</b>			
n/N (%)	37/42 (88)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-1,32 (8,060)	0,91 (3,251)	-0,32 [-0,886; 0,247]
LS MW (SE)	-1,47 (0,900)	1,22 (1,324)	LS MD
95 %-KI	-3,284; 0,335	-1,443; 3,883	-2,69 [-6,019; 0,630] 0,1097
<b>2</b>			
n/N (%)	43/43 (100)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,18 (0,895)	-0,02 (0,755)	-0,19 [-0,744; 0,359]
LS MW (SE)	-0,17 (0,117)	-0,04 (0,182)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-0,409; 0,060	-0,403; 0,326	-0,14 [-0,572; 0,299] 0,5327
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	40/42 (95)	16/17 (94)	Hedges` g
MW (SD)	-1,37 (7,680)	0,59 (1,070)	-0,29 [-0,877; 0,288]
LS MW (SE)	-1,47 (0,740)	0,84 (1,178)	LS MD
95 %-KI	-2,956; 0,021	-1,532; 3,206	-2,30 [-5,119; 0,511] 0,1064
2			
n/N (%)	40/43 (93)	20/21 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,06 (1,276)	0,34 (3,073)	-0,19 [-0,726; 0,350]
LS MW (SE)	-0,04 (0,325)	0,31 (0,470)	LS MD
95 %-KI	-0,694; 0,610	-0,633; 1,252	-0,35 [-1,531; 0,827] 0,5515
Änderung zu Woche 52			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	34/36 (94)	19/20 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,20 (1,140)	1,67 (6,866)	-0,44 [-1,009; 0,127]
LS MW (SE)	0,07 (0,659)	1,19 (0,900)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-1,252; 1,400	-0,623; 2,999	-1,11 [-3,434; 1,206] 0,3390
2			
n/N (%)	46/49 (94)	17/18 (94)	Hedges` g
MW (SD)	-0,77 (7,595)	1,92 (4,978)	-0,38 [-0,939; 0,182]
LS MW (SE)	-0,77 (0,942)	1,93 (1,585)	LS MD
95 %-KI	-2,659; 1,114	-1,248; 5,101	-2,70 [-6,462; 1,064] 0,1563
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	13/16 (81)	9/11 (82)	Hedges` g
MW (SD)	-0,57 (0,779)	0,49 (1,339)	-0,98 [-1,887; -0,071]
LS MW (SE)	-0,51 (0,228)	0,40 (0,282)	LS MD
95 %-KI	-0,995; -0,017	-0,207; 1,002	-0,90 [-1,737; -0,071] 0,0354
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,36 (3,402)	2,65 (8,556)	-0,46 [-1,103; 0,189]
LS MW (SE)	0,32 (0,761)	2,79 (1,448)	LS MD
95 %-KI	-1,207; 1,854	-0,124; 5,703	-2,47 [-5,768; 0,837] 0,1398
3			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Alglucosidade alfa/Placebo	
N	85	38	-
n/N (%)	24/26 (92)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-2,10 (9,460)	1,88 (5,357)	-0,48 [-1,132; 0,177]
LS MW (SE)	-2,53 (1,303)	2,57 (1,678)	LS MD
95 %-KI	-5,183; 0,133	-0,856; 5,990	-5,09 [-9,580; -0,603] 0,0275
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	37/42 (88)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,88 (8,511)	3,28 (8,233)	-0,49 [-1,058; 0,084]
LS MW (SE)	-1,08 (1,343)	3,71 (1,976)	LS MD
95 %-KI	-3,785; 1,617	-0,263; 7,687	-4,80 [-9,758; 0,166] 0,0579
2			
n/N (%)	43/43 (100)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,23 (0,825)	0,29 (0,875)	-0,61 [-1,173; -0,050]
LS MW (SE)	-0,23 (0,121)	0,30 (0,188)	LS MD
95 %-KI	-0,468; 0,016	-0,081; 0,672	-0,52 [-0,972; -0,071] 0,0240
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	40/42 (95)	16/17 (94)	Hedges` g
MW (SD)	-0,90 (8,104)	2,17 (5,085)	-0,41 [-0,995; 0,175]

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
LS MW (SE)	-1,02 (1,035)	2,47 (1,647)	LS MD
95 %-KI	-3,100; 1,061	-0,838; 5,784	-3,49 [-7,427; 0,443] 0,0807
2			
n/N (%)	40/43 (93)	20/21 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,15 (1,364)	1,48 (6,702)	-0,40 [-0,945; 0,139]
LS MW (SE)	-0,08 (0,613)	1,34 (0,887)	LS MD
95 %-KI	-1,313; 1,149	-0,440; 3,119	-1,42 [-3,647; 0,804] 0,2056
<p><sup>a</sup>Die Veränderung der Punktwerte gegenüber Baseline plus 95 %-KI und p-Wert zu jedem spezifizierten Zeitpunkt wurden mit einer ANCOVA, stratifiziert nach Geschlecht, Alter, Gewicht und Größe zu Baseline und ERT-Status mit dem Baseline-Wert der jeweiligen Skala als Kovariate auf Basis der Mittelwerte der kleinsten Quadrate analysiert.durch die gepoolte Standardabweichung.</p> <p>ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; LS MD: Mittelwertdifferenz der kleinsten Quadrate; LS MW (SE): Mittelwert der kleinsten Quadrate (Standardfehler); MW (SD): Mittelwert (Standardabweichung); N: Patienten mit Baselinewert; n: Anzahl der Patienten mit Baselinewert in der Analyse</p>			

**35.7.1.06.07.1. Veränderung des GSGC - Zeit, um 4 Treppenstufen zu steigen (in Sek)****35.7.1.06.07.1. Veränderung des GSGC - Zeit, um 4 Treppenstufen zu steigen (in Sek):  
Interaktionstest**

<b>Veränderung des GSGC - Zeit, um 4 Treppenstufen zu steigen (in Sek): Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,2976
02	< 0,0001
03	0,0700
04	0,0240
05	0,1705
06	0,6451
07	0,1251
08	0,0962
09	0,5372
10	0,6406

*<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.*

*In dem Interaktionstest bei Subgruppe 09 ERT-Dauer wird die Variable ERT-Status aus dem Model entfernt, da es keine Dauer der ERT Behandlung für ERT naive Patienten gibt*

**35.7.1.06.07.1. Veränderung des GSGC - Zeit, um 4 Treppenstufen zu steigen (in Sek): Subgruppenanalyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>Veränderung des GSGC - Zeit, um 4 Treppenstufen zu steigen (in Sek)</b>			
Baseline-Werte			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	34/36 (94)	18/20 (90)	-
MW (SD)	4,24 (2,279)	6,33 (9,603)	
2			
n/N (%)	44/49 (90)	17/18 (94)	-
MW (SD)	21,45 (94,247)	9,67 (9,718)	
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	35/42 (83)	17/19 (89)	-
MW (SD)	26,31 (105,431)	12,26 (12,571)	
2			
n/N (%)	43/43 (100)	18/19 (95)	-
MW (SD)	3,89 (2,012)	3,89 (1,440)	
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	38/42 (90)	15/17 (88)	-
MW (SD)	23,26 (101,465)	8,35 (7,878)	



Medizinischer Nutzen, medizinischer Zusatznutzen, Patientengruppen mit therap. bedeutsamem Zusatznutzen

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
<b>N</b>	<b>85</b>	<b>38</b>	-
2			
n/N (%)	40/43 (93)	20/21 (95)	-
MW (SD)	5,11 (3,464)	7,66 (11,010)	
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	13/16 (81)	10/11 (91)	-
MW (SD)	4,82 (2,347)	7,49 (9,551)	
2			
n/N (%)	42/43 (98)	11/12 (92)	-
MW (SD)	6,81 (6,432)	8,36 (12,097)	
3			
n/N (%)	23/26 (88)	14/15 (93)	-
MW (SD)	32,15 (130,594)	7,96 (8,264)	
Änderung zu Woche 12			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	34/36 (94)	18/20 (90)	Hedges` g
MW (SD)	-0,18 (0,877)	-0,40 (1,695)	0,18 [-0,392; 0,753]
LS MW (SE)	-0,28 (0,154)	-0,20 (0,217)	LS MD
95 %-KI	-0,591; 0,031	-0,642; 0,233	-0,08 [-0,630; 0,480] 0,7866
2			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Algluco- sidade alfa/Placebo	
N	85	38	-
n/N (%)	44/49 (90)	17/18 (94)	Hedges` g
MW (SD)	-14,72 (92,782)	0,35 (6,035)	-0,19 [-0,748; 0,373]
LS MW (SE)	-11,29 (1,250)	-8,53 (2,060)	LS MD
95 %-KI	-13,800; -8,786	-12,660; -4,399	-2,76 [-7,698; 2,171] 0,2665
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	35/42 (83)	17/19 (89)	Hedges` g
MW (SD)	-18,29 (104,030)	0,07 (6,207)	-0,21 [-0,792; 0,370]
LS MW (SE)	-13,83 (1,617)	-9,12 (2,391)	LS MD
95 %-KI	-17,085; -10,568	-13,940; -4,303	-4,71 [-10,738; 1,328] 0,1232
2			
n/N (%)	43/43 (100)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,32 (1,197)	-0,14 (1,075)	-0,15 [-0,702; 0,400]
LS MW (SE)	-0,30 (0,153)	-0,17 (0,238)	LS MD
95 %-KI	-0,610; 0,003	-0,645; 0,307	-0,13 [-0,704; 0,435] 0,6373
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	38/42 (90)	15/17 (88)	Hedges` g
MW (SD)	-16,63 (99,873)	1,09 (5,865)	-0,21 [-0,804; 0,394]

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
LS MW (SE)	-12,49 (1,354)	-9,38 (2,176)	LS MD
95 %-KI	-15,221; -9,767	-13,765; -5,000	-3,11 [-8,319; 2,096] 0,2351
2			
n/N (%)	40/43 (93)	20/21 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,55 (1,995)	-0,88 (2,531)	0,15 [-0,388; 0,687]
LS MW (SE)	-0,72 (0,241)	-0,55 (0,349)	LS MD
95 %-KI	-1,199; -0,233	-1,249; 0,152	-0,17 [-1,045; 0,711] 0,7039
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	13/16 (81)	10/11 (91)	Hedges` g
MW (SD)	-0,22 (0,890)	-0,42 (3,417)	0,08 [-0,740; 0,909]
LS MW (SE)	-0,70 (0,471)	0,21 (0,551)	LS MD
95 %-KI	-1,704; 0,303	-0,964; 1,385	-0,91 [-2,599; 0,777] 0,2680
2			
n/N (%)	42/43 (98)	11/12 (92)	Hedges` g
MW (SD)	-0,74 (2,132)	-0,85 (2,113)	0,05 [-0,616; 0,711]
LS MW (SE)	-0,79 (0,294)	-0,65 (0,582)	LS MD
95 %-KI	-1,387; -0,202	-1,820; 0,525	-0,15 [-1,470; 1,176] 0,8241

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
3			
n/N (%)	23/26 (88)	14/15 (93)	Hedges` g
MW (SD)	-26,95 (128,419)	0,87 (5,990)	-0,27 [-0,935; 0,400]
LS MW (SE)	-18,35 (1,832)	-13,25 (2,404)	LS MD
95 %-KI	-22,101; -14,608	-18,162; -8,331	-5,11 [-11,561; 1,346] 0,1163
Änderung zu Woche 26			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	34/36 (94)	18/20 (90)	Hedges` g
MW (SD)	-0,34 (0,863)	-0,33 (1,611)	-0,01 [-0,580; 0,562]
LS MW (SE)	-0,43 (0,122)	-0,18 (0,172)	LS MD
95 %-KI	-0,674; -0,181	-0,523; 0,172	-0,25 [-0,692; 0,188] 0,2548
2			
n/N (%)	44/49 (90)	17/18 (94)	Hedges` g
MW (SD)	-15,17 (93,331)	0,54 (7,496)	-0,19 [-0,755; 0,366]
LS MW (SE)	-11,75 (1,324)	-8,31 (2,181)	LS MD
95 %-KI	-14,408; -9,099	-12,682; -3,935	-3,45 [-8,670; 1,779] 0,1917
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	35/42 (83)	17/19 (89)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
<b>N</b>	<b>85</b>	<b>38</b>	-
MW (SD)	-18,81 (104,635)	0,51 (7,631)	-0,22 [-0,801; 0,361]
LS MW (SE)	-14,35 (1,706)	-8,67 (2,523)	LS MD
95 %-KI	-17,790; -10,914	-13,754; -3,585	-5,68 [-12,048; 0,683] 0,0789
<b>2</b>			
n/N (%)	43/43 (100)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,48 (1,251)	-0,31 (0,845)	-0,15 [-0,699; 0,403]
LS MW (SE)	-0,48 (0,136)	-0,33 (0,211)	LS MD
95 %-KI	-0,750; -0,205	-0,750; 0,097	-0,15 [-0,656; 0,356] 0,5540
<b>08</b>			
<b>1</b>			
n/N (%)	38/42 (90)	15/17 (88)	Hedges` g
MW (SD)	-17,14 (100,458)	1,61 (7,398)	-0,22 [-0,815; 0,384]
LS MW (SE)	-12,98 (1,438)	-8,91 (2,312)	LS MD
95 %-KI	-15,881; -10,087	-13,564; -4,252	-4,08 [-9,609; 1,456] 0,1448
<b>2</b>			
n/N (%)	40/43 (93)	20/21 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,70 (1,857)	-1,06 (2,540)	0,17 [-0,371; 0,704]
LS MW (SE)	-0,85 (0,221)	-0,76 (0,321)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-1,291; -0,404	-1,403; -0,117	-0,09 [-0,894; 0,719] 0,8286
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	13/16 (81)	10/11 (91)	Hedges` g
MW (SD)	-0,46 (0,568)	-1,15 (3,265)	0,30 [-0,526; 1,134]
LS MW (SE)	-0,66 (0,263)	-0,89 (0,308)	LS MD
95 %-KI	-1,219; -0,098	-1,550; -0,238	0,24 [-0,707; 1,179] 0,6017
2			
n/N (%)	42/43 (98)	11/12 (92)	Hedges` g
MW (SD)	-1,05 (2,163)	-0,89 (1,895)	-0,08 [-0,740; 0,588]
LS MW (SE)	-1,11 (0,237)	-0,67 (0,470)	LS MD
95 %-KI	-1,591; -0,635	-1,614; 0,278	-0,44 [-1,512; 0,623] 0,4059
3			
n/N (%)	23/26 (88)	14/15 (93)	Hedges` g
MW (SD)	-27,34 (129,206)	1,74 (7,614)	-0,28 [-0,945; 0,390]
LS MW (SE)	-18,79 (2,100)	-12,30 (2,756)	LS MD
95 %-KI	-23,089; -14,498	-17,941; -6,668	-6,49 [-13,889; 0,910] 0,0833
Änderung zu Woche 38			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	34/36 (94)	18/20 (90)	Hedges` g
MW (SD)	-0,11 (1,060)	-0,23 (1,916)	0,08 [-0,487; 0,656]
LS MW (SE)	-0,24 (0,185)	0,01 (0,261)	LS MD
95 %-KI	-0,615; 0,131	-0,512; 0,539	-0,26 [-0,922; 0,410] 0,4430
2			
n/N (%)	44/49 (90)	17/18 (94)	Hedges` g
MW (SD)	-15,16 (93,648)	0,64 (7,653)	-0,19 [-0,756; 0,366]
LS MW (SE)	-11,76 (1,313)	-8,19 (2,163)	LS MD
95 %-KI	-14,388; -9,123	-12,523; -3,849	-3,57 [-8,751; 1,612] 0,1729
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	35/42 (83)	17/19 (89)	Hedges` g
MW (SD)	-18,53 (105,042)	0,84 (7,822)	-0,22 [-0,801; 0,361]
LS MW (SE)	-14,13 (1,672)	-8,22 (2,472)	LS MD
95 %-KI	-17,501; -10,762	-13,206; -3,241	-5,91 [-12,146; 0,330] 0,0628
2			
n/N (%)	43/43 (100)	18/19 (95)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	-0,52 (1,385)	-0,43 (0,881)	-0,07 [-0,622; 0,479]
LS MW (SE)	-0,51 (0,144)	-0,44 (0,223)	LS MD
95 %-KI	-0,802; -0,225	-0,888; 0,008	-0,07 [-0,609; 0,461] 0,7831
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	38/42 (90)	15/17 (88)	Hedges` g
MW (SD)	-17,06 (100,809)	1,91 (7,452)	-0,22 [-0,817; 0,382]
LS MW (SE)	-12,92 (1,433)	-8,57 (2,303)	LS MD
95 %-KI	-15,810; -10,038	-13,210; -3,934	-4,35 [-9,864; 1,160] 0,1188
2			
n/N (%)	40/43 (93)	20/21 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,57 (2,140)	-1,10 (2,816)	0,22 [-0,315; 0,762]
LS MW (SE)	-0,75 (0,270)	-0,74 (0,391)	LS MD
95 %-KI	-1,291; -0,208	-1,521; 0,048	-0,01 [-0,997; 0,970] 0,9785
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	13/16 (81)	10/11 (91)	Hedges` g
MW (SD)	0,27 (1,567)	-0,77 (3,822)	0,36 [-0,471; 1,194]
LS MW (SE)	-0,05 (0,610)	-0,36 (0,714)	LS MD



PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-1,350; 1,251	-1,877; 1,166	0,31 [-1,882; 2,493] 0,7700
2			
n/N (%)	42/43 (98)	11/12 (92)	Hedges` g
MW (SD)	-0,96 (2,337)	-0,55 (2,266)	-0,18 [-0,840; 0,489]
LS MW (SE)	-1,03 (0,263)	-0,27 (0,521)	LS MD
95 %-KI	-1,560; -0,501	-1,322; 0,776	-0,76 [-1,941; 0,425] 0,2037
3			
n/N (%)	23/26 (88)	14/15 (93)	Hedges` g
MW (SD)	-27,57 (129,594)	1,45 (7,775)	-0,28 [-0,944; 0,392]
LS MW (SE)	-19,01 (2,086)	-12,63 (2,737)	LS MD
95 %-KI	-23,272; -14,741	-18,223; -7,029	-6,38 [-13,728; 0,968] 0,0862
Änderung zu Woche 52			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	34/36 (94)	18/20 (90)	Hedges` g
MW (SD)	0,01 (1,404)	-0,24 (1,882)	0,15 [-0,418; 0,726]
LS MW (SE)	-0,12 (0,222)	0,01 (0,312)	LS MD
95 %-KI	-0,568; 0,327	-0,624; 0,635	-0,13 [-0,924; 0,672] 0,7525

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
2			
n/N (%)	44/49 (90)	17/18 (94)	Hedges` g
MW (SD)	-15,00 (93,226)	0,85 (7,863)	-0,20 [-0,757; 0,365]
LS MW (SE)	-11,58 (1,386)	-8,00 (2,284)	LS MD
95 %-KI	-14,361; -8,804	-12,581; -3,425	-3,58 [-9,049; 1,890] 0,1950
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	35/42 (83)	17/19 (89)	Hedges` g
MW (SD)	-18,25 (104,589)	0,98 (8,037)	-0,22 [-0,800; 0,362]
LS MW (SE)	-13,91 (1,748)	-7,97 (2,585)	LS MD
95 %-KI	-17,428; -10,383	-13,180; -2,762	-5,94 [-12,457; 0,587] 0,0734
2			
n/N (%)	43/43 (100)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,49 (1,473)	-0,37 (0,778)	-0,09 [-0,640; 0,461]
LS MW (SE)	-0,48 (0,156)	-0,39 (0,242)	LS MD
95 %-KI	-0,788; -0,163	-0,878; 0,093	-0,08 [-0,663; 0,498] 0,7760
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	38/42 (90)	15/17 (88)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	-16,56 (100,416)	2,39 (7,413)	-0,22 [-0,817; 0,381]
LS MW (SE)	-12,49 (1,522)	-7,93 (2,446)	LS MD
95 %-KI	-15,557; -9,425	-12,858; -3,003	-4,56 [-10,416; 1,295] 0,1237
2			
n/N (%)	40/43 (93)	20/21 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,76 (1,958)	-1,29 (3,033)	0,22 [-0,319; 0,757]
LS MW (SE)	-0,93 (0,249)	-0,94 (0,361)	LS MD
95 %-KI	-1,430; -0,431	-1,668; -0,220	0,01 [-0,894; 0,921] 0,9764
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	13/16 (81)	10/11 (91)	Hedges` g
MW (SD)	0,03 (1,621)	-0,31 (4,880)	0,10 [-0,729; 0,921]
LS MW (SE)	-0,44 (0,827)	0,31 (0,968)	LS MD
95 %-KI	-2,208; 1,319	-1,756; 2,371	-0,75 [-3,719; 2,215] 0,5969
2			
n/N (%)	42/43 (98)	11/12 (92)	Hedges` g
MW (SD)	-0,99 (2,850)	-1,10 (1,952)	0,04 [-0,622; 0,706]
LS MW (SE)	-1,00 (0,374)	-1,04 (0,741)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-1,756; -0,249	-2,528; 0,456	0,03 [-1,650; 1,717] 0,9682
3			
n/N (%)	23/26 (88)	14/15 (93)	Hedges` g
MW (SD)	-26,90 (129,093)	1,81 (7,596)	-0,27 [-0,942; 0,393]
LS MW (SE)	-18,38 (2,103)	-12,20 (2,760)	LS MD
95 %-KI	-22,681; -14,078	-17,842; -6,553	-6,18 [-13,592; 1,228] 0,0987
<p><sup>a</sup>Die Veränderung der Punktwerte gegenüber Baseline plus 95 %-KI und p-Wert zu jedem spezifizierten Zeitpunkt wurden mit einer ANCOVA, stratifiziert nach Geschlecht, Alter, Gewicht und Größe zu Baseline und ERT-Status mit dem Baseline-Wert der jeweiligen Skala als Kovariate auf Basis der Mittelwerte der kleinsten Quadrate analysiert.durch die gepoolte Standardabweichung.</p> <p>ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; LS MD: Mittelwertdifferenz der kleinsten Quadrate; LS MW (SE): Mittelwert der kleinsten Quadrate (Standardfehler); MW (SD): Mittelwert (Standardabweichung); N: Patienten mit Baselinewert; n: Anzahl der Patienten mit Baselinewert in der Analyse</p>			

**35.7.1.06.08.1. Veränderung des GSGC - Zeit, um das Gowers Manöver zu absolvieren (in Sek)****35.7.1.06.08.1. Veränderung des GSGC - Zeit, um das Gowers Manöver zu absolvieren (in Sek): Interaktionstest**

<b>Veränderung des GSGC - Zeit, um das Gowers Manöver zu absolvieren (in Sek): Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,2412
02	0,0315
03	0,8684
04	0,0003
05	0,3539
06	0,0510
07	0,6176
08	0,2394
09	0,3213
10	0,4684

<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.

In dem Interaktionstest bei Subgruppe 09 ERT-Dauer wird die Variable ERT-Status aus dem Model entfernt, da es keine Dauer der ERT Behandlung für ERT naive Patienten gibt

**35.7.1.06.08.1. Veränderung des GSGC - Zeit, um das Gowers Manöver zu absolvieren (in Sek): Subgruppenanalyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>Veränderung des GSGC - Zeit, um das Gowers Manöver zu absolvieren (in Sek)</b>			
Baseline-Werte			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	28/36 (78)	15/20 (75)	-
MW (SD)	9,82 (8,011)	14,01 (11,487)	
2			
n/N (%)	33/49 (67)	11/18 (61)	-
MW (SD)	11,70 (6,954)	17,05 (12,261)	
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	13/16 (81)	9/11 (82)	-
MW (SD)	8,25 (2,385)	7,77 (1,609)	
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	-
MW (SD)	9,44 (6,317)	9,45 (4,222)	
3			
n/N (%)	24/26 (92)	15/15 (100)	-
MW (SD)	10,87 (11,022)	10,65 (7,430)	
<b>07</b>			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
1			
n/N (%)	20/42 (48)	8/19 (42)	-
MW (SD)	17,14 (8,629)	19,81 (11,593)	
2			
n/N (%)	41/43 (95)	18/19 (95)	-
MW (SD)	7,76 (4,291)	13,29 (11,460)	
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	25/42 (60)	9/17 (53)	-
MW (SD)	12,47 (7,967)	17,10 (7,176)	
2			
n/N (%)	36/43 (84)	17/21 (81)	-
MW (SD)	9,70 (6,963)	14,34 (13,583)	
Änderung zu Woche 12			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	28/36 (78)	15/20 (75)	Hedges` g
MW (SD)	-0,97 (4,342)	-0,97 (5,180)	-0,00 [-0,629; 0,625]
LS MW (SE)	-1,69 (0,794)	0,37 (1,114)	LS MD
95 %-KI	-3,301; -0,079	-1,891; 2,626	-2,06 [-4,936; 0,822] 0,1559
2			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
n/N (%)	33/49 (67)	11/18 (61)	Hedges` g
MW (SD)	-0,42 (3,267)	-2,56 (4,010)	0,61 [-0,085; 1,305]
LS MW (SE)	-0,31 (0,576)	-2,89 (1,040)	LS MD
95 %-KI	-1,475; 0,861	-4,996; -0,782	2,58 [0,101; 5,062] 0,0418
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	13/16 (81)	9/11 (82)	Hedges` g
MW (SD)	-0,48 (0,901)	0,16 (0,994)	-0,66 [-1,532; 0,221]
LS MW (SE)	-0,45 (0,189)	0,11 (0,234)	LS MD
95 %-KI	-0,856; -0,044	-0,396; 0,607	-0,56 [-1,246; 0,135] 0,1067
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges` g
MW (SD)	14,06 (90,231)	0,63 (2,147)	0,16 [-0,476; 0,806]
LS MW (SE)	15,16 (12,454)	-3,31 (23,710)	LS MD
95 %-KI	-9,893; 40,216	-51,010; 44,387	18,47 [-35,591; 72,536] 0,4952
3			
n/N (%)	24/26 (92)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-1,81 (9,236)	-1,73 (7,332)	-0,01 [-0,654; 0,636]
LS MW (SE)	-1,70 (0,980)	-1,90 (1,262)	LS MD



PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-3,700; 0,299	-4,474; 0,676	0,20 [-3,178; 3,575] 0,9052
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	20/42 (48)	8/19 (42)	Hedges` g
MW (SD)	-0,51 (5,969)	-3,32 (4,962)	0,48 [-0,353; 1,309]
LS MW (SE)	-0,75 (1,236)	-2,73 (2,006)	LS MD
95 %-KI	-3,326; 1,830	-6,915; 1,455	1,98 [-3,053; 7,017] 0,4212
2			
n/N (%)	41/43 (95)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,75 (2,108)	-0,89 (4,522)	0,05 [-0,508; 0,601]
LS MW (SE)	-1,08 (0,421)	-0,14 (0,662)	LS MD
95 %-KI	-1,929; -0,238	-1,465; 1,192	-0,95 [-2,589; 0,694] 0,2521
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	25/42 (60)	9/17 (53)	Hedges` g
MW (SD)	-0,62 (4,940)	-2,30 (5,545)	0,32 [-0,444; 1,088]
LS MW (SE)	-0,87 (1,056)	-1,60 (1,798)	LS MD
95 %-KI	-3,043; 1,297	-5,291; 2,099	0,72 [-3,637; 5,083] 0,7360

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
2			
n/N (%)	36/43 (84)	17/21 (81)	Hedges` g
MW (SD)	-0,71 (2,775)	-1,29 (4,335)	0,17 [-0,405; 0,750]
LS MW (SE)	-0,95 (0,528)	-0,79 (0,791)	LS MD
95 %-KI	-2,011; 0,118	-2,383; 0,804	-0,16 [-2,138; 1,825] 0,8742
Änderung zu Woche 26			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	28/36 (78)	15/20 (75)	Hedges` g
MW (SD)	-0,32 (3,159)	-0,19 (5,334)	-0,03 [-0,657; 0,597]
LS MW (SE)	-0,30 (0,802)	-0,23 (1,125)	LS MD
95 %-KI	-1,923; 1,331	-2,514; 2,047	-0,06 [-2,969; 2,844] 0,9655
2			
n/N (%)	33/49 (67)	10/18 (56)	Hedges` g
MW (SD)	-1,08 (2,977)	-3,86 (8,939)	0,55 [-0,166; 1,270]
LS MW (SE)	-1,33 (0,733)	-3,02 (1,375)	LS MD
95 %-KI	-2,821; 0,152	-5,805; -0,227	1,68 [-1,545; 4,908] 0,2975
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	13/16 (81)	9/11 (82)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	-0,57 (1,051)	0,20 (0,915)	-0,74 [-1,624; 0,143]
LS MW (SE)	-0,50 (0,222)	0,10 (0,275)	LS MD
95 %-KI	-0,979; -0,025	-0,487; 0,692	-0,61 [-1,417; 0,207] 0,1324
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,07 (2,923)	0,36 (2,555)	-0,10 [-0,740; 0,540]
LS MW (SE)	0,05 (0,447)	0,42 (0,851)	LS MD
95 %-KI	-0,848; 0,951	-1,290; 2,136	-0,37 [-2,312; 1,570] 0,7023
3			
n/N (%)	24/26 (92)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-2,27 (9,572)	-1,07 (4,749)	-0,15 [-0,791; 0,501]
LS MW (SE)	-2,32 (0,792)	-0,97 (1,020)	LS MD
95 %-KI	-3,940; -0,709	-3,054; 1,105	-1,35 [-4,077; 1,378] 0,3206
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	20/42 (48)	7/19 (37)	Hedges` g
MW (SD)	-0,92 (4,791)	-1,54 (5,070)	0,12 [-0,738; 0,985]
LS MW (SE)	-0,77 (1,171)	-1,98 (2,090)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-3,221; 1,679	-6,356; 2,391	1,21 [-4,009; 6,432] 0,6328
2			
n/N (%)	41/43 (95)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,63 (1,765)	-1,71 (7,836)	0,23 [-0,322; 0,789]
LS MW (SE)	-1,13 (0,626)	-0,58 (0,984)	LS MD
95 %-KI	-2,385; 0,129	-2,556; 1,395	-0,55 [-2,988; 1,894] 0,6545
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	25/42 (60)	8/17 (47)	Hedges` g
MW (SD)	-0,68 (3,158)	-1,25 (6,591)	0,13 [-0,664; 0,930]
LS MW (SE)	-0,56 (0,839)	-1,63 (1,534)	LS MD
95 %-KI	-2,287; 1,170	-4,789; 1,528	1,07 [-2,611; 4,756] 0,5543
2			
n/N (%)	36/43 (84)	17/21 (81)	Hedges` g
MW (SD)	-0,76 (3,035)	-1,85 (7,467)	0,22 [-0,359; 0,798]
LS MW (SE)	-0,92 (0,711)	-1,53 (1,065)	LS MD
95 %-KI	-2,351; 0,514	-3,671; 0,619	0,61 [-2,059; 3,275] 0,6484
Änderung zu Woche 38			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	28/36 (78)	15/20 (75)	Hedges` g
MW (SD)	-1,35 (3,921)	-1,28 (6,830)	-0,01 [-0,641; 0,614]
LS MW (SE)	-1,66 (0,962)	-0,70 (1,349)	LS MD
95 %-KI	-3,615; 0,289	-3,431; 2,041	-0,97 [-4,456; 2,519] 0,5769
2			
n/N (%)	33/49 (67)	10/18 (56)	Hedges` g
MW (SD)	0,18 (4,909)	-3,79 (8,945)	0,65 [-0,075; 1,368]
LS MW (SE)	-0,06 (1,037)	-2,98 (1,944)	LS MD
95 %-KI	-2,166; 2,039	-6,924; 0,963	2,92 [-1,645; 7,479] 0,2030
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	13/16 (81)	9/11 (82)	Hedges` g
MW (SD)	-0,32 (0,949)	0,07 (1,225)	-0,35 [-1,209; 0,506]
LS MW (SE)	-0,33 (0,222)	0,07 (0,275)	LS MD
95 %-KI	-0,805; 0,149	-0,516; 0,663	-0,40 [-1,213; 0,411] 0,3075
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	0,08 (2,058)	0,68 (3,882)	-0,23 [-0,872; 0,411]
LS MW (SE)	0,06 (0,408)	0,76 (0,776)	LS MD
95 %-KI	-0,765; 0,875	-0,801; 2,323	-0,71 [-2,476; 1,064] 0,4263
3			
n/N (%)	24/26 (92)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-2,34 (9,595)	0,49 (1,116)	-0,37 [-1,016; 0,286]
LS MW (SE)	-2,68 (0,906)	1,04 (1,167)	LS MD
95 %-KI	-4,528; -0,831	-1,339; 3,421	-3,72 [-6,842; -0,600] 0,0210
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	20/42 (48)	7/19 (37)	Hedges` g
MW (SD)	-0,21 (7,319)	-1,69 (5,343)	0,21 [-0,655; 1,070]
LS MW (SE)	-0,32 (1,666)	-1,38 (2,974)	LS MD
95 %-KI	-3,806; 3,170	-7,602; 4,849	1,06 [-6,373; 8,490] 0,7688
2			
n/N (%)	41/43 (95)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,67 (2,242)	-2,52 (8,528)	0,36 [-0,196; 0,921]
LS MW (SE)	-1,34 (0,673)	-1,00 (1,057)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-2,692; 0,010	-3,119; 1,127	-0,35 [-2,968; 2,278] 0,7926
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	25/42 (60)	8/17 (47)	Hedges` g
MW (SD)	-0,76 (6,102)	-2,88 (8,616)	0,31 [-0,494; 1,106]
LS MW (SE)	-1,04 (1,444)	-1,99 (2,640)	LS MD
95 %-KI	-4,016; 1,934	-7,422; 3,452	0,94 [-5,396; 7,285] 0,7615
2			
n/N (%)	36/43 (84)	17/21 (81)	Hedges` g
MW (SD)	-0,36 (3,051)	-2,01 (7,447)	0,33 [-0,248; 0,913]
LS MW (SE)	-0,57 (0,743)	-1,56 (1,113)	LS MD
95 %-KI	-2,068; 0,925	-3,796; 0,686	0,98 [-1,803; 3,770] 0,4807
Änderung zu Woche 52			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	28/36 (78)	15/20 (75)	Hedges` g
MW (SD)	-0,48 (5,529)	-1,81 (4,866)	0,25 [-0,384; 0,875]
LS MW (SE)	-0,51 (1,034)	-1,77 (1,450)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-2,605; 1,590	-4,707; 1,175	1,26 [-2,490; 5,007] 0,5003
2			
n/N (%)	33/49 (67)	11/18 (61)	Hedges` g
MW (SD)	-0,07 (6,078)	-2,56 (9,005)	0,36 [-0,331; 1,043]
LS MW (SE)	0,08 (1,229)	-3,00 (2,218)	LS MD
95 %-KI	-2,413; 2,569	-7,492; 1,498	3,08 [-2,216; 8,366] 0,2465
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	13/16 (81)	9/11 (82)	Hedges` g
MW (SD)	-0,57 (0,779)	0,49 (1,339)	-0,98 [-1,887; -0,071]
LS MW (SE)	-0,51 (0,228)	0,40 (0,282)	LS MD
95 %-KI	-0,995; -0,017	-0,207; 1,002	-0,90 [-1,737; -0,071] 0,0354
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,36 (3,402)	2,65 (8,556)	-0,46 [-1,103; 0,189]
LS MW (SE)	0,32 (0,761)	2,79 (1,448)	LS MD
95 %-KI	-1,207; 1,854	-0,124; 5,703	-2,47 [-5,768; 0,837] 0,1398
3			



PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Alglucosidade alfa/Placebo	
N	85	38	-
n/N (%)	24/26 (92)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-2,10 (9,460)	1,88 (5,357)	-0,48 [-1,132; 0,177]
LS MW (SE)	-2,53 (1,303)	2,57 (1,678)	LS MD
95 %-KI	-5,183; 0,133	-0,856; 5,990	-5,09 [-9,580; -0,603] 0,0275
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	20/42 (48)	8/19 (42)	Hedges` g
MW (SD)	0,21 (8,419)	-0,34 (5,382)	0,07 [-0,752; 0,888]
LS MW (SE)	0,19 (1,812)	-0,31 (2,941)	LS MD
95 %-KI	-3,586; 3,974	-6,446; 5,825	0,50 [-6,878; 7,887] 0,8881
2			
n/N (%)	41/43 (95)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,48 (4,052)	-2,93 (7,300)	0,46 [-0,100; 1,022]
LS MW (SE)	-1,12 (0,727)	-1,48 (1,143)	LS MD
95 %-KI	-2,580; 0,340	-3,770; 0,818	0,36 [-2,479; 3,191] 0,8019
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	25/42 (60)	9/17 (53)	Hedges` g
MW (SD)	-0,12 (6,916)	-2,38 (5,493)	0,33 [-0,432; 1,101]

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
LS MW (SE)	-0,18 (1,324)	-2,20 (2,255)	LS MD
95 %-KI	-2,906; 2,538	-6,836; 2,435	2,02 [-3,453; 7,486] 0,4554
2			
n/N (%)	36/43 (84)	17/21 (81)	Hedges` g
MW (SD)	-0,35 (4,960)	-2,00 (7,515)	0,28 [-0,303; 0,855]
LS MW (SE)	-0,49 (0,927)	-1,71 (1,389)	LS MD
95 %-KI	-2,356; 1,380	-4,510; 1,084	1,23 [-2,252; 4,702] 0,4816
<p><sup>a</sup>Die Veränderung der Punktwerte gegenüber Baseline plus 95 %-KI und p-Wert zu jedem spezifizierten Zeitpunkt wurden mit einer ANCOVA, stratifiziert nach Geschlecht, Alter, Gewicht und Größe zu Baseline und ERT-Status mit dem Baseline-Wert der jeweiligen Skala als Kovariate auf Basis der Mittelwerte der kleinsten Quadrate analysiert.durch die gepoolte Standardabweichung.</p> <p>ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; LS MD: Mittelwertdifferenz der kleinsten Quadrate; LS MW (SE): Mittelwert der kleinsten Quadrate (Standardfehler); MW (SD): Mittelwert (Standardabweichung); N: Patienten mit Baselinewert; n: Anzahl der Patienten mit Baselinewert in der Analyse</p>			

**35.7.1.06.09.1. Veränderung des GSGC - Zeit, um sich von einem Stuhl zu erheben (in Sek)****35.7.1.06.09.1. Veränderung des GSGC - Zeit, um sich von einem Stuhl zu erheben (in Sek): Interaktionstest**

<b>Veränderung des GSGC - Zeit, um sich von einem Stuhl zu erheben (in Sek): Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,6869
02	0,0003
03	0,3136
04	0,1306
05	0,3109
06	0,7290
07	0,2584
08	0,2248
09	0,7575
10	0,7567

<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.

In dem Interaktionstest bei Subgruppe 09 ERT-Dauer wird die Variable ERT-Status aus dem Model entfernt, da es keine Dauer der ERT Behandlung für ERT naive Patienten gibt

**35.7.1.06.09.1. Veränderung des GSGC - Zeit, um sich von einem Stuhl zu erheben (in Sek): Subgruppenanalyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>Veränderung des GSGC - Zeit, um sich von einem Stuhl zu erheben (in Sek)</b>			
Baseline-Werte			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	33/36 (92)	17/20 (85)	-
MW (SD)	3,01 (3,305)	2,86 (2,345)	
2			
n/N (%)	44/49 (90)	16/18 (89)	-
MW (SD)	21,52 (113,706)	6,06 (6,772)	
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	13/16 (81)	10/11 (91)	-
MW (SD)	3,58 (3,531)	4,99 (5,956)	
2			
n/N (%)	40/43 (93)	10/12 (83)	-
MW (SD)	3,91 (4,355)	3,04 (1,735)	
3			
n/N (%)	24/26 (92)	13/15 (87)	-
MW (SD)	35,12 (154,031)	5,03 (6,368)	
<b>07</b>			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
1			
n/N (%)	34/42 (81)	15/19 (79)	-
MW (SD)	28,16 (129,071)	5,98 (6,096)	
2			
n/N (%)	43/43 (100)	18/19 (95)	-
MW (SD)	2,06 (1,199)	3,11 (4,004)	
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	37/42 (88)	14/17 (82)	-
MW (SD)	25,07 (123,949)	4,83 (5,793)	
2			
n/N (%)	40/43 (93)	19/21 (90)	-
MW (SD)	2,96 (2,667)	4,11 (4,829)	
Änderung zu Woche 12			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	33/36 (92)	17/20 (85)	Hedges` g
MW (SD)	-0,01 (1,186)	0,29 (2,618)	-0,17 [-0,752; 0,420]
LS MW (SE)	-0,09 (0,313)	0,45 (0,445)	LS MD
95 %-KI	-0,721; 0,543	-0,448; 1,347	-0,54 [-1,666; 0,589] 0,3407
2			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Alglucosidade alfa/Placebo	
N	85	38	-
n/N (%)	44/49 (90)	16/18 (89)	Hedges` g
MW (SD)	0,35 (4,321)	-1,49 (4,830)	0,41 [-0,170; 0,984]
LS MW (SE)	0,38 (0,701)	-1,55 (1,193)	LS MD
95 %-KI	-1,031; 1,783	-3,946; 0,841	1,93 [-0,907; 4,764] 0,1782
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	13/16 (81)	10/11 (91)	Hedges` g
MW (SD)	-0,10 (1,499)	-1,39 (5,327)	0,34 [-0,492; 1,170]
LS MW (SE)	-0,01 (0,876)	-1,51 (1,028)	LS MD
95 %-KI	-1,874; 1,859	-3,702; 0,682	1,50 [-1,679; 4,685] 0,3301
2			
n/N (%)	40/43 (93)	10/12 (83)	Hedges` g
MW (SD)	0,44 (4,306)	-0,36 (1,367)	0,20 [-0,494; 0,895]
LS MW (SE)	0,39 (0,549)	-0,14 (1,109)	LS MD
95 %-KI	-0,722; 1,492	-2,380; 2,098	0,53 [-1,986; 3,039] 0,6746
3			
n/N (%)	24/26 (92)	13/15 (87)	Hedges` g
MW (SD)	-0,05 (2,037)	-0,10 (4,117)	0,02 [-0,657; 0,693]
LS MW (SE)	-0,09 (0,649)	-0,02 (0,908)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-1,419; 1,237	-1,874; 1,841	-0,07 [-2,457; 2,308] 0,9494
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	34/42 (81)	15/19 (79)	Hedges` g
MW (SD)	0,59 (4,993)	-0,47 (2,661)	0,23 [-0,376; 0,843]
LS MW (SE)	0,27 (0,803)	0,25 (1,249)	LS MD
95 %-KI	-1,352; 1,891	-2,273; 2,772	0,02 [-3,082; 3,122] 0,9898
2			
n/N (%)	43/43 (100)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,11 (0,664)	-0,66 (4,767)	0,21 [-0,346; 0,757]
LS MW (SE)	-0,40 (0,255)	0,03 (0,403)	LS MD
95 %-KI	-0,909; 0,115	-0,775; 0,840	-0,43 [-1,405; 0,546] 0,3810
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	37/42 (88)	14/17 (82)	Hedges` g
MW (SD)	0,47 (4,764)	0,08 (3,918)	0,08 [-0,531; 0,700]
LS MW (SE)	0,34 (0,750)	0,42 (1,234)	LS MD
95 %-KI	-1,172; 1,851	-2,063; 2,913	-0,09 [-3,029; 2,858] 0,9536

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
2			
n/N (%)	40/43 (93)	19/21 (90)	Hedges` g
MW (SD)	-0,05 (0,850)	-1,05 (3,915)	0,42 [-0,128; 0,976]
LS MW (SE)	-0,08 (0,304)	-0,99 (0,454)	LS MD
95 %-KI	-0,690; 0,530	-1,907; -0,083	0,91 [-0,222; 2,051] 0,1122
Änderung zu Woche 26			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	33/36 (92)	17/20 (85)	Hedges` g
MW (SD)	-0,18 (1,348)	-0,00 (1,148)	-0,13 [-0,720; 0,451]
LS MW (SE)	-0,22 (0,232)	0,08 (0,329)	LS MD
95 %-KI	-0,686; 0,248	-0,579; 0,747	-0,30 [-1,136; 0,529] 0,4666
2			
n/N (%)	43/49 (88)	16/18 (89)	Hedges` g
MW (SD)	-0,41 (2,076)	-1,29 (4,112)	0,32 [-0,262; 0,892]
LS MW (SE)	-0,46 (0,383)	-1,17 (0,646)	LS MD
95 %-KI	-1,224; 0,311	-2,469; 0,123	0,72 [-0,828; 2,261] 0,3561
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	13/16 (81)	10/11 (91)	Hedges` g



PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	0,24 (1,869)	-1,07 (5,310)	0,34 [-0,495; 1,167]
LS MW (SE)	0,50 (0,967)	-1,42 (1,136)	LS MD
95 %-KI	-1,556; 2,566	-3,836; 1,004	1,92 [-1,593; 5,434] 0,2621
2			
n/N (%)	40/43 (93)	10/12 (83)	Hedges` g
MW (SD)	-0,36 (1,383)	-0,44 (1,491)	0,06 [-0,637; 0,749]
LS MW (SE)	-0,34 (0,215)	-0,53 (0,434)	LS MD
95 %-KI	-0,770; 0,096	-1,409; 0,342	0,20 [-0,786; 1,179] 0,6881
3			
n/N (%)	23/26 (88)	13/15 (87)	Hedges` g
MW (SD)	-0,53 (2,322)	-0,43 (1,000)	-0,05 [-0,730; 0,630]
LS MW (SE)	-0,62 (0,371)	-0,28 (0,507)	LS MD
95 %-KI	-1,377; 0,144	-1,317; 0,762	-0,34 [-1,683; 1,005] 0,6093
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	33/42 (79)	15/19 (79)	Hedges` g
MW (SD)	-0,34 (2,616)	0,07 (1,572)	-0,17 [-0,780; 0,442]
LS MW (SE)	-0,40 (0,399)	0,20 (0,610)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-1,205; 0,409	-1,030; 1,435	-0,60 [-2,122; 0,921] 0,4300
2			
n/N (%)	43/43 (100)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,29 (0,711)	-1,21 (3,763)	0,43 [-0,126; 0,986]
LS MW (SE)	-0,56 (0,131)	-0,55 (0,206)	LS MD
95 %-KI	-0,825; -0,300	-0,964; -0,136	-0,01 [-0,513; 0,488] 0,9595
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	36/42 (86)	14/17 (82)	Hedges` g
MW (SD)	-0,66 (2,140)	0,01 (1,227)	-0,34 [-0,963; 0,279]
LS MW (SE)	-0,73 (0,295)	0,21 (0,479)	LS MD
95 %-KI	-1,329; -0,136	-0,761; 1,171	-0,94 [-2,084; 0,208] 0,1061
2			
n/N (%)	40/43 (93)	19/21 (90)	Hedges` g
MW (SD)	0,01 (1,355)	-1,10 (3,793)	0,45 [-0,100; 1,005]
LS MW (SE)	-0,03 (0,327)	-1,03 (0,489)	LS MD
95 %-KI	-0,685; 0,628	-2,011; -0,048	1,00 [-0,221; 2,224] 0,1062
Änderung zu Woche 38			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	33/36 (92)	17/20 (85)	Hedges` g
MW (SD)	-0,07 (0,960)	0,79 (4,048)	-0,35 [-0,936; 0,243]
LS MW (SE)	-0,15 (0,448)	0,95 (0,636)	LS MD
95 %-KI	-1,057; 0,749	-0,331; 2,235	-1,11 [-2,717; 0,505] 0,1734
2			
n/N (%)	44/49 (90)	16/18 (89)	Hedges` g
MW (SD)	-17,25 (112,121)	-1,60 (4,869)	-0,16 [-0,733; 0,413]
LS MW (SE)	-13,18 (0,720)	-12,78 (1,224)	LS MD
95 %-KI	-14,624; -11,738	-15,233; -10,322	-0,40 [-3,312; 2,505] 0,7818
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	13/16 (81)	10/11 (91)	Hedges` g
MW (SD)	-0,02 (1,201)	0,45 (8,079)	-0,08 [-0,910; 0,740]
LS MW (SE)	-0,20 (1,428)	0,68 (1,677)	LS MD
95 %-KI	-3,241; 2,845	-2,896; 4,251	-0,88 [-6,064; 4,312] 0,7240
2			
n/N (%)	40/43 (93)	10/12 (83)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	-0,19 (1,402)	-0,81 (1,441)	0,43 [-0,266; 1,132]
LS MW (SE)	-0,18 (0,199)	-0,84 (0,402)	LS MD
95 %-KI	-0,584; 0,218	-1,650; -0,027	0,66 [-0,255; 1,566] 0,1538
<b>3</b>			
n/N (%)	24/26 (92)	13/15 (87)	Hedges` g
MW (SD)	-31,39 (151,792)	-0,65 (2,026)	-0,24 [-0,922; 0,433]
LS MW (SE)	-21,03 (1,005)	-19,77 (1,406)	LS MD
95 %-KI	-23,086; -18,975	-22,649; -16,900	-1,26 [-4,942; 2,431] 0,4916
<b>07</b>			
<b>1</b>			
n/N (%)	34/42 (81)	15/19 (79)	Hedges` g
MW (SD)	-22,18 (127,555)	0,85 (4,964)	-0,21 [-0,821; 0,397]
LS MW (SE)	-15,59 (0,973)	-14,09 (1,514)	LS MD
95 %-KI	-17,556; -13,625	-17,145; -11,031	-1,50 [-5,263; 2,257] 0,4242
<b>2</b>			
n/N (%)	43/43 (100)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,16 (0,818)	-1,38 (4,053)	0,53 [-0,031; 1,087]
LS MW (SE)	-0,44 (0,182)	-0,72 (0,287)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-0,805; -0,074	-1,298; -0,146	0,28 [-0,414; 0,979] 0,4192
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	37/42 (88)	14/17 (82)	Hedges` g
MW (SD)	-20,65 (122,228)	0,86 (5,002)	-0,20 [-0,818; 0,414]
LS MW (SE)	-15,20 (0,917)	-13,54 (1,509)	LS MD
95 %-KI	-17,050; -13,351	-16,585; -10,498	-1,66 [-5,259; 1,941] 0,3579
2			
n/N (%)	40/43 (93)	19/21 (90)	Hedges` g
MW (SD)	0,07 (1,319)	-1,27 (4,103)	0,52 [-0,034; 1,075]
LS MW (SE)	-0,04 (0,342)	-1,04 (0,510)	LS MD
95 %-KI	-0,722; 0,649	-2,070; -0,020	1,01 [-0,268; 2,285] 0,1189
Änderung zu Woche 52			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	33/36 (92)	17/20 (85)	Hedges` g
MW (SD)	-0,21 (0,990)	0,65 (2,795)	-0,47 [-1,060; 0,126]
LS MW (SE)	-0,24 (0,320)	0,71 (0,455)	LS MD

Medizinischer Nutzen, medizinischer Zusatznutzen, Patientengruppen mit therap. bedeutsamem Zusatznutzen

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-0,889; 0,402	-0,202; 1,631	-0,96 [-2,109; 0,193] 0,1005
2			
n/N (%)	44/49 (90)	16/18 (89)	Hedges` g
MW (SD)	-17,64 (112,063)	-1,69 (4,557)	-0,16 [-0,736; 0,410]
LS MW (SE)	-13,54 (0,624)	-12,97 (1,061)	LS MD
95 %-KI	-14,789; -12,288	-15,097; -10,841	-0,57 [-3,091; 1,950] 0,6518
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	13/16 (81)	10/11 (91)	Hedges` g
MW (SD)	-0,64 (1,593)	-0,03 (6,791)	-0,13 [-0,953; 0,698]
LS MW (SE)	-0,81 (1,138)	0,20 (1,336)	LS MD
95 %-KI	-3,240; 1,611	-2,649; 3,047	-1,01 [-5,149; 3,121] 0,6090
2			
n/N (%)	40/43 (93)	10/12 (83)	Hedges` g
MW (SD)	-0,50 (1,382)	-0,90 (1,342)	0,29 [-0,409; 0,982]
LS MW (SE)	-0,47 (0,152)	-1,02 (0,308)	LS MD
95 %-KI	-0,778; -0,163	-1,642; -0,398	0,55 [-0,148; 1,247] 0,1194
3			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
n/N (%)	24/26 (92)	13/15 (87)	Hedges` g
MW (SD)	-31,45 (151,781)	-0,52 (1,964)	-0,25 [-0,924; 0,432]
LS MW (SE)	-21,06 (0,929)	-19,70 (1,300)	LS MD
95 %-KI	-22,957; -19,156	-22,361; -17,045	-1,35 [-4,762; 2,055] 0,4234
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	34/42 (81)	15/19 (79)	Hedges` g
MW (SD)	-22,66 (127,472)	0,37 (3,691)	-0,21 [-0,821; 0,397]
LS MW (SE)	-15,99 (0,814)	-14,76 (1,267)	LS MD
95 %-KI	-17,637; -14,348	-17,315; -12,199	-1,24 [-4,382; 1,910] 0,4322
2			
n/N (%)	43/43 (100)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,29 (0,823)	-1,19 (3,991)	0,40 [-0,159; 0,951]
LS MW (SE)	-0,56 (0,151)	-0,54 (0,238)	LS MD
95 %-KI	-0,866; -0,260	-1,023; -0,067	-0,02 [-0,595; 0,559] 0,9510
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	37/42 (88)	14/17 (82)	Hedges` g
MW (SD)	-20,82 (122,204)	-0,09 (2,429)	-0,19 [-0,811; 0,421]

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
LS MW (SE)	-15,36 (0,748)	-14,51 (1,231)	LS MD
95 %-KI	-16,869; -13,852	-16,994; -12,029	-0,85 [-3,785; 2,087] 0,5629
2			
n/N (%)	40/43 (93)	19/21 (90)	Hedges` g
MW (SD)	-0,32 (1,316)	-0,77 (4,720)	0,16 [-0,392; 0,702]
LS MW (SE)	-0,45 (0,349)	-0,51 (0,521)	LS MD
95 %-KI	-1,150; 0,250	-1,552; 0,541	0,06 [-1,247; 1,359] 0,9316
<p><sup>a</sup>Die Veränderung der Punktwerte gegenüber Baseline plus 95 %-KI und p-Wert zu jedem spezifizierten Zeitpunkt wurden mit einer ANCOVA, stratifiziert nach Geschlecht, Alter, Gewicht und Größe zu Baseline und ERT-Status mit dem Baseline-Wert der jeweiligen Skala als Kovariate auf Basis der Mittelwerte der kleinsten Quadrate analysiert.durch die gepoolte Standardabweichung.</p> <p>ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; LS MD: Mittelwertdifferenz der kleinsten Quadrate; LS MW (SE): Mittelwert der kleinsten Quadrate (Standardfehler); MW (SD): Mittelwert (Standardabweichung); N: Patienten mit Baselinewert; n: Anzahl der Patienten mit Baselinewert in der Analyse</p>			



**35.7.1.06.10.2. Verbesserung um 3,45 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Gesamtwert MID = 15 %****35.7.1.06.10.2. Verbesserung um 3,45 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Gesamtwert MID = 15 %: Interaktionstest**

<b>Verbesserung um 3,45 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Gesamtwert MID = 15 %: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,1240
02	0,8069
03	0,2155
04	0,3429
05	0,4071
06	0,9140
07	0,6159
08	0,2195
09	0,4961
10	0,2516

<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.

**35.7.1.06.10.2. Verbesserung um 3,45 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Gesamtwert MID = 15 %: Subgruppenanalyse**

<b>Verbesserung um 3,45 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Gesamtwert MID = 15 %</b>			
		<b>Cipaglusosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>01</b>			
1	N	36	20
	Ereignisse, n (%)	6 (17)	0 (0)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	2,05 [0,517; 8,124] p = 0,3070	
2	N	49	18
	Ereignisse, n (%)	10 (20)	2 (11)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,68 [0,384; 7,347] p = 0,4907	
<b>02</b>			
<b>03</b>			
<b>04</b>			
<b>05</b>			
<b>06</b>			
<b>07</b>			
1	N	42	19
	Ereignisse, n (%)	5 (12)	1 (5)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,98 [0,251; 15,643] p = 0,5164	
2	N	43	19
	Ereignisse, n (%)	11 (26)	1 (5)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	5,17 [0,698; 38,241] p = 0,1078	
<b>08</b>			
1	N	42	17
	Ereignisse, n (%)	6 (14)	0 (0)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,42 [0,385; 5,265] p = 0,5970	
2	N	43	21

<b>Verbesserung um 3,45 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Gesamtwert MID = 15 %</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidade alfa/Placebo</b>
	Ereignisse, n (%)	10 (23)	2 (10)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	2,32 [0,612; 8,777] p = 0,2157	
<b>09</b>			
<b>10</b>			
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach den zwei Faktoren „Baseline 6MWD“ und „ERT Status“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>			

**35.7.1.06.11.2. Verschlechterung um 3,45 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Gesamtwert MID = 15 %****35.7.1.06.11.2. Verschlechterung um 3,45 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Gesamtwert MID = 15 %: Interaktionstest**

<b>Verschlechterung um 3,45 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Gesamtwert MID = 15 %: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,6487
02	0,7633
03	0,4687
04	0,2883
05	0,9302
06	0,3028
07	0,4717
08	0,1149
09	0,9041
10	0,2304

<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.

**35.7.1.06.11.2. Verschlechterung um 3,45 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Gesamtwert MID = 15 %: Subgruppenanalyse**

<b>Verschlechterung um 3,45 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Gesamtwert MID = 15 %</b>			
		<b>Cipaglusosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>01</b>			
1	N	36	20
	Ereignisse, n (%)	6 (17)	0 (0)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	2,05 [0,517; 8,124] p = 0,3070	
2	N	49	18
	Ereignisse, n (%)	10 (20)	2 (11)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,68 [0,384; 7,347] p = 0,4907	
<b>02</b>			
<b>03</b>			
<b>04</b>			
<b>05</b>			
<b>06</b>			
<b>07</b>			
1	N	42	19
	Ereignisse, n (%)	5 (12)	1 (5)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,98 [0,251; 15,643] p = 0,5164	
2	N	43	19
	Ereignisse, n (%)	11 (26)	1 (5)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	5,17 [0,698; 38,241] p = 0,1078	
<b>08</b>			
1	N	42	17
	Ereignisse, n (%)	6 (14)	0 (0)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,42 [0,385; 5,265] p = 0,5970	
2	N	43	21

<b>Verschlechterung um 3,45 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Gesamtwert MID = 15 %</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidade alfa/Placebo</b>
	Ereignisse, n (%)	10 (23)	2 (10)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	2,32 [0,612; 8,777] p = 0,2157	
<b>09</b>			
<b>10</b>			
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach den zwei Faktoren „Baseline 6MWD“ und „ERT Status“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>			

**35.7.1.06.12.2. Verbesserung um 0,9 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Gang-Wert MID = 15 %****35.7.1.06.12.2. Verbesserung um 0,9 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Gang-Wert MID = 15 %: Interaktionstest**

<b>Verbesserung um 0,9 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Gang-Wert MID = 15 %: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,2462
02	0,8276
03	0,1166
04	0,5988
05	0,8464
06	0,2893
07	0,6308
08	0,6650
09	0,2236
10	0,4750

<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.

**35.7.1.06.12.2. Verbesserung um 0,9 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Gang-Wert MID = 15 %: Subgruppenanalyse**

<b>Verbesserung um 0,9 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Gang-Wert MID = 15 %</b>			
		<b>Cipaglucosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>01</b>			
1	N	36	20
	Ereignisse, n (%)	10 (28)	7 (35)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,73 [0,334; 1,578] p = 0,4192	
2	N	49	18
	Ereignisse, n (%)	20 (41)	4 (22)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,90 [0,644; 5,583] p = 0,2459	
<b>02</b>			
<b>03</b>			
1	N	16	11
	Ereignisse, n (%)	4 (25)	4 (36)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,71 [0,214; 2,347] p = 0,5735	
2	N	43	12
	Ereignisse, n (%)	18 (42)	1 (8)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	4,64 [0,727; 29,666] p = 0,1047	
3	N	26	15
	Ereignisse, n (%)	8 (31)	6 (40)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,73 [0,276; 1,950] p = 0,5342	
<b>04</b>			
<b>05</b>			
<b>06</b>			
<b>07</b>			
1	N	42	19
	Ereignisse, n (%)	16 (38)	5 (26)



<b>Verbesserung um 0,9 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Gang-Wert MID = 15 %</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,34 [0,555; 3,239] p = 0,5142	
2	N	43	19
	Ereignisse, n (%)	14 (33)	6 (32)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,05 [0,481; 2,293] p = 0,9019	
<b>08</b>			
1	N	42	17
	Ereignisse, n (%)	10 (24)	4 (24)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,79 [0,250; 2,502] p = 0,6890	
2	N	43	21
	Ereignisse, n (%)	20 (47)	7 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,20 [0,623; 2,327] p = 0,5797	
<b>09</b>			
<b>10</b>			
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach den zwei Faktoren „Baseline 6MWD“ und „ERT Status“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>			

**35.7.1.06.13.2. Verschlechterung um 0,9 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Gang - Wert MID = 15 %****35.7.1.06.13.2. Verschlechterung um 0,9 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Gang - Wert MID = 15 %: Interaktionstest**

<b>Verschlechterung um 0,9 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Gang -Wert MID = 15 %: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,0392
02	0,4640
03	0,8761
04	0,8479
05	0,6128
06	0,9777
07	0,4469
08	0,1441
09	0,8641
10	0,9410

<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.

**35.7.1.06.13.2. Verschlechterung um 0,9 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Gang - Wert MID = 15 %: Subgruppenanalyse**

<b>Verschlechterung um 0,9 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Gang -Wert MID = 15 %</b>			
		<b>Cipaglucosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>01</b>			
1	N	36	20
	Ereignisse, n (%)	10 (28)	7 (35)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,73 [0,334; 1,578] p = 0,4192	
2	N	49	18
	Ereignisse, n (%)	20 (41)	4 (22)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,90 [0,644; 5,583] p = 0,2459	
<b>02</b>			
<b>03</b>			
1	N	16	11
	Ereignisse, n (%)	4 (25)	4 (36)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,71 [0,214; 2,347] p = 0,5735	
2	N	43	12
	Ereignisse, n (%)	18 (42)	1 (8)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	4,64 [0,727; 29,666] p = 0,1047	
3	N	26	15
	Ereignisse, n (%)	8 (31)	6 (40)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,73 [0,276; 1,950] p = 0,5342	
<b>04</b>			
<b>05</b>			
<b>06</b>			
<b>07</b>			
1	N	42	19
	Ereignisse, n (%)	6 (14)	6 (32)

<b>Verschlechterung um 0,9 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Gang -Wert MID = 15 %</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,40 [0,154; 1,030] p = 0,0577	
2	N	43	19
	Ereignisse, n (%)	11 (26)	6 (32)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,80 [0,378; 1,692] p = 0,5592	
<b>08</b>			
1	N	42	17
	Ereignisse, n (%)	10 (24)	4 (24)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,79 [0,250; 2,502] p = 0,6890	
2	N	43	21
	Ereignisse, n (%)	20 (47)	7 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,20 [0,623; 2,327] p = 0,5797	
<b>09</b>			
<b>10</b>			
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach den zwei Faktoren „Baseline 6MWD“ und „ERT Status“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>			

**35.7.1.06.14.2. Verbesserung um 0,9 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Treppenwert MID = 15 %****35.7.1.06.14.2. Verbesserung um 0,9 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Treppenwert MID = 15 %: Interaktionstest**

<b>Verbesserung um 0,9 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Treppenwert MID = 15 %: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,2431
02	0,6003
03	0,3453
04	0,3351
05	0,2067
06	0,7739
07	0,3419
08	0,2460
09	0,0814
10	0,8661

<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.

**35.7.1.06.14.2. Verbesserung um 0,9 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Treppenwert MID = 15 %: Subgruppenanalyse**

Verbesserung um 0,9 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Treppenwert MID = 15 %			
		Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo
<b>01</b>			
1	N	36	20
	Ereignisse, n (%)	6 (17)	3 (15)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,98 [0,292; 3,289] p = 0,9741	
2	N	49	18
	Ereignisse, n (%)	12 (24)	1 (6)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	4,79 [0,557; 41,180] p = 0,1538	
<b>02</b>			
<b>03</b>			
1	N	16	11
	Ereignisse, n (%)	4 (25)	4 (36)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,71 [0,214; 2,347] p = 0,5735	
2	N	43	12
	Ereignisse, n (%)	18 (42)	1 (8)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	4,64 [0,727; 29,666] p = 0,1047	
3	N	26	15
	Ereignisse, n (%)	8 (31)	6 (40)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,73 [0,276; 1,950] p = 0,5342	
<b>04</b>			
<b>05</b>			
<b>06</b>			
<b>07</b>			
1	N	42	19
	Ereignisse, n (%)	6 (14)	6 (32)

<b>Verbesserung um 0,9 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Treppen-Wert MID = 15 %</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,40 [0,154; 1,030] p = 0,0577	
2	N	43	19
	Ereignisse, n (%)	11 (26)	6 (32)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,80 [0,378; 1,692] p = 0,5592	
<b>08</b>			
1	N	42	17
	Ereignisse, n (%)	11 (26)	1 (6)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	3,78 [0,462; 30,951] p = 0,2148	
2	N	43	21
	Ereignisse, n (%)	7 (16)	3 (14)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,19 [0,360; 3,938] p = 0,7759	
<b>09</b>			
<b>10</b>			
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach den zwei Faktoren „Baseline 6MWD“ und „ERT Status“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>			

**35.7.1.06.15.2. Verschlechterung um 0,9 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Treppen-Wert MID = 15 %****35.7.1.06.15.2. Verschlechterung um 0,9 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Treppen-Wert MID = 15 %: Interaktionstest**

<b>Verschlechterung um 0,9 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Treppen-Wert MID = 15 %: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,4551
02	0,5477
03	0,8247
04	0,6326
05	0,1415
06	0,5744
07	0,2138
08	0,1453
09	0,4332
10	0,5240

<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.



**35.7.1.06.15.2. Verschlechterung um 0,9 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Treppen-Wert MID = 15 %: Subgruppenanalyse**

<b>Verschlechterung um 0,9 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Treppen-Wert MID = 15 %</b>			
		<b>Cipaglusosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>01</b>			
1	N	36	20
	Ereignisse, n (%)	6 (17)	3 (15)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,98 [0,292; 3,289] p = 0,9741	
2	N	49	18
	Ereignisse, n (%)	12 (24)	1 (6)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	4,79 [0,557; 41,180] p = 0,1538	
<b>02</b>			
<b>03</b>			
1	N	16	11
	Ereignisse, n (%)	4 (25)	4 (36)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,71 [0,214; 2,347] p = 0,5735	
2	N	43	12
	Ereignisse, n (%)	18 (42)	1 (8)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	4,64 [0,727; 29,666] p = 0,1047	
3	N	26	15
	Ereignisse, n (%)	8 (31)	6 (40)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,73 [0,276; 1,950] p = 0,5342	
<b>04</b>			
<b>05</b>			
<b>06</b>			
<b>07</b>			
1	N	42	19
	Ereignisse, n (%)	6 (14)	6 (32)

<b>Verschlechterung um 0,9 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Treppen-Wert MID = 15 %</b>			
		<b>Cipaglicosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,40 [0,154; 1,030] p = 0,0577	
2	N	43	19
	Ereignisse, n (%)	11 (26)	6 (32)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,80 [0,378; 1,692] p = 0,5592	
<b>08</b>			
1	N	42	17
	Ereignisse, n (%)	11 (26)	1 (6)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	3,78 [0,462; 30,951] p = 0,2148	
2	N	43	21
	Ereignisse, n (%)	7 (16)	3 (14)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,19 [0,360; 3,938] p = 0,7759	
<b>09</b>			
<b>10</b>			
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach den zwei Faktoren „Baseline 6MWD“ und „ERT Status“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>			

**35.7.1.06.16.2. Verbesserung um 0,9 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Gowers Manöver-Wert MID = 15 %****35.7.1.06.16.2. Verbesserung um 0,9 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Gowers Manöver-Wert MID = 15 %: Interaktionstest**

<b>Verbesserung um 0,9 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Gowers Manöver-Wert MID = 15 %: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,8110
02	0,0960
03	0,0189
04	0,7038
05	0,4453
06	0,3214
07	0,9570
08	0,3737
09	0,7726
10	0,0595

<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.

**35.7.1.06.16.2. Verbesserung um 0,9 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Gowers Manöver-Wert MID = 15 %: Subgruppenanalyse**

Verbesserung um 0,9 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Gowers Manöver-Wert MID = 15 %			
		Cipaglusosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo
<b>01</b>			
1	N	36	20
	Ereignisse, n (%)	11 (31)	5 (25)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,25 [0,525; 2,964] p = 0,6173	
2	N	49	18
	Ereignisse, n (%)	11 (22)	4 (22)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,14 [0,429; 3,041] p = 0,7912	
<b>02</b>			
<b>03</b>			
1	N	16	11
	Ereignisse, n (%)	3 (19)	2 (18)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,93 [0,190; 4,545] p = 0,9271	
2	N	43	12
	Ereignisse, n (%)	13 (30)	0 (0)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	2,35 [0,688; 8,042] p = 0,1725	
3	N	26	15
	Ereignisse, n (%)	6 (23)	7 (47)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,50 [0,216; 1,158] p = 0,1056	
<b>04</b>			
<b>05</b>			
<b>06</b>			
<b>07</b>			
1	N	42	19
	Ereignisse, n (%)	7 (17)	3 (16)

<b>Verbesserung um 0,9 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Gowers Manöver-Wert MID = 15 %</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,02 [0,313; 3,289] p = 0,9801	
2	N	43	19
	Ereignisse, n (%)	15 (35)	6 (32)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,10 [0,492; 2,472] p = 0,8122	
<b>08</b>			
1	N	42	17
	Ereignisse, n (%)	7 (17)	4 (24)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,67 [0,206; 2,165] p = 0,5016	
2	N	43	21
	Ereignisse, n (%)	15 (35)	5 (24)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,48 [0,630; 3,454] p = 0,3701	
<b>09</b>			
<b>10</b>			
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach den zwei Faktoren „Baseline 6MWD“ und „ERT Status“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>			

**35.7.1.06.17.2. Verschlechterung um 0,9 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Gowers Manöver-Wert MID = 15 %****35.7.1.06.17.2. Verschlechterung um 0,9 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Gowers Manöver-Wert MID = 15 %: Interaktionstest**

<b>Verschlechterung um 0,9 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Gowers Manöver-Wert MID = 15 %: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,9892
02	0,0618
03	0,7512
04	0,8354
05	0,8174
06	0,9984
07	0,8576
08	0,6931
09	0,9762
10	0,3385

<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.

**35.7.1.06.17.2. Verschlechterung um 0,9 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Gowers Manöver-Wert MID = 15 %: Subgruppenanalyse**

Verschlechterung um 0,9 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Gowers Manöver-Wert MID = 15 %			
		Cipaglicosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo
<b>01</b>			
1	N	36	20
	Ereignisse, n (%)	11 (31)	6 (30)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,86 [0,383; 1,926] p = 0,7123	
2	N	49	18
	Ereignisse, n (%)	14 (29)	5 (28)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,08 [0,471; 2,464] p = 0,8602	
<b>02</b>			
<b>03</b>			
1	N	16	11
	Ereignisse, n (%)	5 (31)	5 (45)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,59 [0,241; 1,423] p = 0,2377	
2	N	43	12
	Ereignisse, n (%)	14 (33)	3 (25)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,16 [0,373; 3,609] p = 0,7974	
3	N	26	15
	Ereignisse, n (%)	6 (23)	3 (20)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,67 [0,593; 4,682] p = 0,3324	
<b>04</b>			
<b>05</b>			
<b>06</b>			
<b>07</b>			
1	N	42	19

<b>Verschlechterung um 0,9 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Gowers Manöver-Wert MID = 15 %</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
	Ereignisse, n (%)	6 (14)	3 (16)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,80 [0,224; 2,824] p = 0,7230	
2	N	43	19
	Ereignisse, n (%)	19 (44)	8 (42)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,07 [0,551; 2,068] p = 0,8465	
<b>08</b>			
1	N	42	17
	Ereignisse, n (%)	12 (29)	4 (24)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,00 [0,399; 2,483] p = 0,9915	
2	N	43	21
	Ereignisse, n (%)	13 (30)	7 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,91 [0,348; 2,380] p = 0,8475	
<b>09</b>			
<b>10</b>			
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach den zwei Faktoren „Baseline 6MWD“ und „ERT Status“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>			



**35.7.1.06.18.2. Verbesserung um 0,75 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Stuhl-Wert MID = 15 %****35.7.1.06.18.2. Verbesserung um 0,75 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Stuhl-Wert MID = 15 %: Interaktionstest**

<b>Verbesserung um 0,75 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Stuhl-Wert MID = 15 %: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,1233
02	0,9965
03	0,2332
04	0,9375
05	0,0366
06	0,4552
07	0,7997
08	0,7192
09	0,2262
10	0,4877

<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.

**35.7.1.06.18.2. Verbesserung um 0,75 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Stuhl-Wert MID = 15 %: Subgruppenanalyse**

<b>Verbesserung um 0,75 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Stuhl-Wert MID = 15 %</b>			
		<b>Cipaglucosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>01</b>			
1	N	36	20
	Ereignisse, n (%)	11 (31)	3 (15)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,79 [0,599; 5,371] p = 0,2963	
2	N	49	18
	Ereignisse, n (%)	18 (37)	10 (56)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,60 [0,328; 1,110] p = 0,1045	
<b>02</b>			
<b>03</b>			
1	N	16	11
	Ereignisse, n (%)	4 (25)	6 (55)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,51 [0,153; 1,680] p = 0,2667	
2	N	43	12
	Ereignisse, n (%)	16 (37)	2 (17)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,94 [0,537; 6,982] p = 0,3125	
3	N	26	15
	Ereignisse, n (%)	9 (35)	5 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,09 [0,470; 2,547] p = 0,8347	
<b>04</b>			
<b>05</b>			
<b>06</b>			
<b>07</b>			
1	N	42	19
	Ereignisse, n (%)	12 (29)	6 (32)

<b>Verbesserung um 0,75 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Stuhl-Wert MID = 15 %</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,83 [0,345; 1,991] p = 0,6753	
2	N	43	19
	Ereignisse, n (%)	17 (40)	7 (37)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,12 [0,581; 2,144] p = 0,7412	
<b>08</b>			
1	N	42	17
	Ereignisse, n (%)	13 (31)	6 (35)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,69 [0,269; 1,781] p = 0,4454	
2	N	43	21
	Ereignisse, n (%)	16 (37)	7 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,33 [0,637; 2,774] p = 0,4490	
<b>09</b>			
<b>10</b>			
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach den zwei Faktoren „Baseline 6MWD“ und „ERT Status“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>			

**35.7.1.06.19.2. Verschlechterung um 0,75 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Stuhl-Wert MID = 15 %****35.7.1.06.19.2. Verschlechterung um 0,75 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Stuhl-Wert MID = 15 %: Interaktionstest**

<b>Verschlechterung um 0,75 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Stuhl-Wert MID = 15 %: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,0847
02	0,2534
03	0,0772
04	0,4508
05	0,6619
06	0,4849
07	0,1753
08	0,1919
09	0,9350
10	0,0508
<i><sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

**35.7.1.06.19.2. Verschlechterung um 0,75 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Stuhl-Wert MID = 15 %: Subgruppenanalyse**

<b>Verschlechterung um 0,75 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Stuhl-Wert MID = 15 %</b>			
		<b>Cipaglucosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>01</b>			
1	N	36	20
	Ereignisse, n (%)	5 (14)	5 (25)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,50 [0,182; 1,380] p = 0,1813	
2	N	49	18
	Ereignisse, n (%)	10 (20)	1 (6)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	2,95 [0,436; 19,968] p = 0,2674	
<b>02</b>			
<b>03</b>			
1	N	16	11
	Ereignisse, n (%)	4 (25)	6 (55)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,51 [0,153; 1,680] p = 0,2667	
2	N	43	12
	Ereignisse, n (%)	16 (37)	2 (17)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,94 [0,537; 6,982] p = 0,3125	
3	N	26	15
	Ereignisse, n (%)	9 (35)	5 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,09 [0,470; 2,547] p = 0,8347	
<b>04</b>			
<b>05</b>			
<b>06</b>			
<b>07</b>			
1	N	42	19
	Ereignisse, n (%)	12 (29)	6 (32)

<b>Verschlechterung um 0,75 Punkte im GSGC gegenüber Baseline im Stuhl-Wert MID = 15 %</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,83 [0,345; 1,991] p = 0,6753	
2	N	43	19
	Ereignisse, n (%)	17 (40)	7 (37)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,12 [0,581; 2,144] p = 0,7412	
<b>08</b>			
1	N	42	17
	Ereignisse, n (%)	13 (31)	6 (35)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,69 [0,269; 1,781] p = 0,4454	
2	N	43	21
	Ereignisse, n (%)	16 (37)	7 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,33 [0,637; 2,774] p = 0,4490	
<b>09</b>			
<b>10</b>			
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach den zwei Faktoren „Baseline 6MWD“ und „ERT Status“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>			

**Timed Up and Go (TUG)****35.7.1.07****35.7.1.07.01.1. Veränderung des TUG - Zeit, um den Timed-Up-and-Go-Test abzuschließen (in Sek)****35.7.1.07.01.1. Veränderung des TUG - Zeit, um den Timed-Up-and-Go-Test abzuschließen (in Sek): Interaktionstest**

<b>Veränderung des TUG - Zeit, um den Timed-Up-and-Go-Test abzuschließen (in Sek): Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,4488
02	0,8593
03	0,3246
04	0,3048
05	0,6798
06	0,9655
07	0,6125
08	0,7024
09	0,9127
10	0,9089

<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.

In dem Interaktionstest bei Subgruppe 09 ERT-Dauer wird die Variable ERT-Status aus dem Model entfernt, da es keine Dauer der ERT Behandlung für ERT naive Patienten gibt

**35.7.1.07.01.1. Veränderung des TUG - Zeit, um den Timed-Up-and-Go-Test abzuschließen (in Sek): Subgruppenanalyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>Veränderung des TUG - Zeit, um den Timed-Up-and-Go-Test abzuschließen (in Sek)</b>			
Baseline-Werte			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	31/36 (86)	17/20 (85)	-
MW (SD)	10,85 (6,964)	10,94 (3,504)	
2			
n/N (%)	44/49 (90)	15/18 (83)	-
MW (SD)	14,32 (11,743)	11,85 (6,382)	
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	32/42 (76)	14/19 (74)	-
MW (SD)	18,83 (13,222)	14,46 (5,932)	
2			
n/N (%)	43/43 (100)	18/19 (95)	-
MW (SD)	8,46 (2,242)	8,97 (2,149)	
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	36/42 (86)	14/17 (82)	-
MW (SD)	15,66 (13,101)	13,40 (5,670)	



PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
2			
n/N (%)	39/43 (91)	18/21 (86)	-
MW (SD)	10,32 (5,282)	9,79 (3,855)	
Änderung zu Woche 12			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	31/36 (86)	17/20 (85)	Hedges` g
MW (SD)	-0,25 (2,027)	0,27 (2,655)	-0,22 [-0,817; 0,369]
LS MW (SE)	-0,27 (0,434)	0,32 (0,600)	LS MD
95 %-KI	-1,147; 0,606	-0,896; 1,529	-0,59 [-2,138; 0,964] 0,4492
2			
n/N (%)	44/49 (90)	15/18 (83)	Hedges` g
MW (SD)	-0,07 (7,713)	-0,90 (2,995)	0,12 [-0,468; 0,705]
LS MW (SE)	-0,04 (0,938)	-0,99 (1,648)	LS MD
95 %-KI	-1,925; 1,839	-4,299; 2,314	0,95 [-2,928; 4,827] 0,6253
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	32/42 (76)	14/19 (74)	Hedges` g
MW (SD)	0,46 (9,137)	-0,98 (3,467)	0,18 [-0,450; 0,809]
LS MW (SE)	0,44 (1,299)	-0,93 (2,081)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-2,190; 3,068	-5,138; 3,287	1,36 [-3,896; 6,626] 0,6025
2			
n/N (%)	43/43 (100)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,60 (1,321)	0,27 (2,181)	-0,53 [-1,087; 0,031]
LS MW (SE)	-0,56 (0,242)	0,18 (0,377)	LS MD
95 %-KI	-1,047; -0,077	-0,576; 0,937	-0,74 [-1,649; 0,165] 0,1066
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	36/42 (86)	14/17 (82)	Hedges` g
MW (SD)	0,42 (8,540)	-1,18 (3,238)	0,21 [-0,409; 0,829]
LS MW (SE)	0,40 (1,133)	-1,13 (1,831)	LS MD
95 %-KI	-1,886; 2,688	-4,826; 2,565	1,53 [-2,846; 5,908] 0,4841
2			
n/N (%)	39/43 (91)	18/21 (86)	Hedges` g
MW (SD)	-0,67 (1,680)	0,42 (2,337)	-0,56 [-1,132; 0,006]
LS MW (SE)	-0,65 (0,291)	0,39 (0,441)	LS MD
95 %-KI	-1,236; -0,066	-0,498; 1,275	-1,04 [-2,137; 0,058] 0,0629
Änderung zu Woche 26			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	31/36 (86)	17/20 (85)	Hedges` g
MW (SD)	-0,35 (1,423)	-0,69 (2,303)	0,19 [-0,404; 0,782]
LS MW (SE)	-0,42 (0,336)	-0,58 (0,465)	LS MD
95 %-KI	-1,096; 0,263	-1,515; 0,365	0,16 [-1,044; 1,361] 0,7916
2			
n/N (%)	44/49 (90)	15/18 (83)	Hedges` g
MW (SD)	0,05 (10,256)	0,05 (2,287)	0,00 [-0,585; 0,587]
LS MW (SE)	-0,03 (1,277)	0,28 (2,243)	LS MD
95 %-KI	-2,588; 2,536	-4,225; 4,778	-0,30 [-5,581; 4,977] 0,9090
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	32/42 (76)	14/19 (74)	Hedges` g
MW (SD)	0,38 (12,083)	-0,06 (3,279)	0,04 [-0,585; 0,671]
LS MW (SE)	-0,05 (1,755)	0,92 (2,811)	LS MD
95 %-KI	-3,599; 3,505	-4,769; 6,613	-0,97 [-8,077; 6,139] 0,7841
2			
n/N (%)	43/43 (100)	18/19 (95)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Alglucosidade alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	-0,49 (1,053)	-0,57 (1,104)	0,07 [-0,476; 0,625]
LS MW (SE)	-0,52 (0,154)	-0,48 (0,241)	LS MD
95 %-KI	-0,831; -0,211	-0,966; 0,001	-0,04 [-0,618; 0,540] 0,8936
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	36/42 (86)	14/17 (82)	Hedges` g
MW (SD)	0,44 (11,156)	-0,16 (2,380)	0,06 [-0,557; 0,678]
LS MW (SE)	0,31 (1,485)	0,17 (2,399)	LS MD
95 %-KI	-2,686; 3,306	-4,675; 5,009	0,14 [-5,591; 5,877] 0,9600
2			
n/N (%)	39/43 (91)	18/21 (86)	Hedges` g
MW (SD)	-0,62 (2,350)	-0,49 (2,274)	-0,05 [-0,613; 0,504]
LS MW (SE)	-0,62 (0,327)	-0,51 (0,496)	LS MD
95 %-KI	-1,275; 0,040	-1,504; 0,490	-0,11 [-1,344; 1,124] 0,8583
Änderung zu Woche 38			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	31/36 (86)	17/20 (85)	Hedges` g
MW (SD)	0,27 (2,418)	-0,46 (2,292)	0,30 [-0,293; 0,897]

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
LS MW (SE)	0,31 (0,453)	-0,53 (0,626)	LS MD
95 %-KI	-0,604; 1,224	-1,794; 0,734	0,84 [-0,777; 2,458] 0,3000
2			
n/N (%)	44/49 (90)	15/18 (83)	Hedges` g
MW (SD)	0,17 (10,296)	-0,69 (2,644)	0,09 [-0,492; 0,680]
LS MW (SE)	0,05 (1,313)	-0,33 (2,308)	LS MD
95 %-KI	-2,584; 2,687	-4,962; 4,300	0,38 [-5,048; 5,813] 0,8881
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	32/42 (76)	14/19 (74)	Hedges` g
MW (SD)	1,17 (12,233)	0,01 (3,331)	0,11 [-0,519; 0,738]
LS MW (SE)	0,83 (1,807)	0,78 (2,896)	LS MD
95 %-KI	-2,831; 4,486	-5,082; 6,642	0,05 [-7,273; 7,369] 0,9895
2			
n/N (%)	43/43 (100)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,50 (1,026)	-1,01 (1,326)	0,45 [-0,102; 1,011]
LS MW (SE)	-0,48 (0,177)	-1,04 (0,276)	LS MD
95 %-KI	-0,837; -0,128	-1,594; -0,488	0,56 [-0,104; 1,221] 0,0969

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	36/42 (86)	14/17 (82)	Hedges` g
MW (SD)	0,87 (11,220)	-0,31 (2,685)	0,12 [-0,498; 0,738]
LS MW (SE)	0,75 (1,519)	0,00 (2,455)	LS MD
95 %-KI	-2,314; 3,817	-4,951; 4,958	0,75 [-5,119; 6,615] 0,7983
2			
n/N (%)	39/43 (91)	18/21 (86)	Hedges` g
MW (SD)	-0,39 (2,801)	-0,77 (2,262)	0,14 [-0,421; 0,698]
LS MW (SE)	-0,36 (0,435)	-0,84 (0,659)	LS MD
95 %-KI	-1,233; 0,514	-2,168; 0,480	0,49 [-1,154; 2,124] 0,5547
Änderung zu Woche 52			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	31/36 (86)	17/20 (85)	Hedges` g
MW (SD)	-0,31 (1,674)	-0,73 (2,692)	0,20 [-0,396; 0,789]
LS MW (SE)	-0,24 (0,402)	-0,86 (0,555)	LS MD
95 %-KI	-1,053; 0,569	-1,980; 0,263	0,62 [-0,818; 2,052] 0,3904
2			
n/N (%)	44/49 (90)	15/18 (83)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	-0,29 (11,014)	0,37 (2,637)	-0,07 [-0,653; 0,519]
LS MW (SE)	-0,22 (1,279)	0,18 (2,247)	LS MD
95 %-KI	-2,788; 2,345	-4,334; 4,685	-0,40 [-5,685; 4,892] 0,8810
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	32/42 (76)	14/19 (74)	Hedges` g
MW (SD)	-0,21 (13,004)	0,49 (3,327)	-0,06 [-0,691; 0,566]
LS MW (SE)	-0,43 (1,775)	1,01 (2,844)	LS MD
95 %-KI	-4,027; 3,160	-4,752; 6,763	-1,44 [-8,630; 5,752] 0,6877
2			
n/N (%)	43/43 (100)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,36 (1,171)	-0,77 (1,978)	0,27 [-0,278; 0,828]
LS MW (SE)	-0,38 (0,221)	-0,73 (0,345)	LS MD
95 %-KI	-0,822; 0,064	-1,419; -0,037	0,35 [-0,480; 1,177] 0,4024
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	36/42 (86)	14/17 (82)	Hedges` g
MW (SD)	0,02 (11,886)	0,80 (3,040)	-0,07 [-0,692; 0,543]
LS MW (SE)	-0,03 (1,538)	0,92 (2,486)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-3,130; 3,080	-4,095; 5,939	-0,95 [-6,889; 4,995] 0,7493
2			
n/N (%)	39/43 (91)	18/21 (86)	Hedges` g
MW (SD)	-0,59 (3,030)	-1,01 (2,129)	0,15 [-0,413; 0,706]
LS MW (SE)	-0,57 (0,383)	-1,05 (0,581)	LS MD
95 %-KI	-1,341; 0,200	-2,222; 0,114	0,48 [-0,962; 1,929] 0,5045
<p><sup>a</sup>Die Veränderung der Punktwerte gegenüber Baseline plus 95 %-KI und p-Wert zu jedem spezifizierten Zeitpunkt wurden mit einer ANCOVA, stratifiziert nach Geschlecht, Alter, Gewicht und Größe zu Baseline und ERT-Status mit dem Baseline-Wert der jeweiligen Skala als Kovariate auf Basis der Mittelwerte der kleinsten Quadrate analysiert.durch die gepoolte Standardabweichung.</p> <p>ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; LS MD: Mittelwertdifferenz der kleinsten Quadrate; LS MW (SE): Mittelwert der kleinsten Quadrate (Standardfehler); MW (SD): Mittelwert (Standardabweichung); N: Patienten mit Baselinewert; n: Anzahl der Patienten mit Baselinewert in der Analyse</p>			



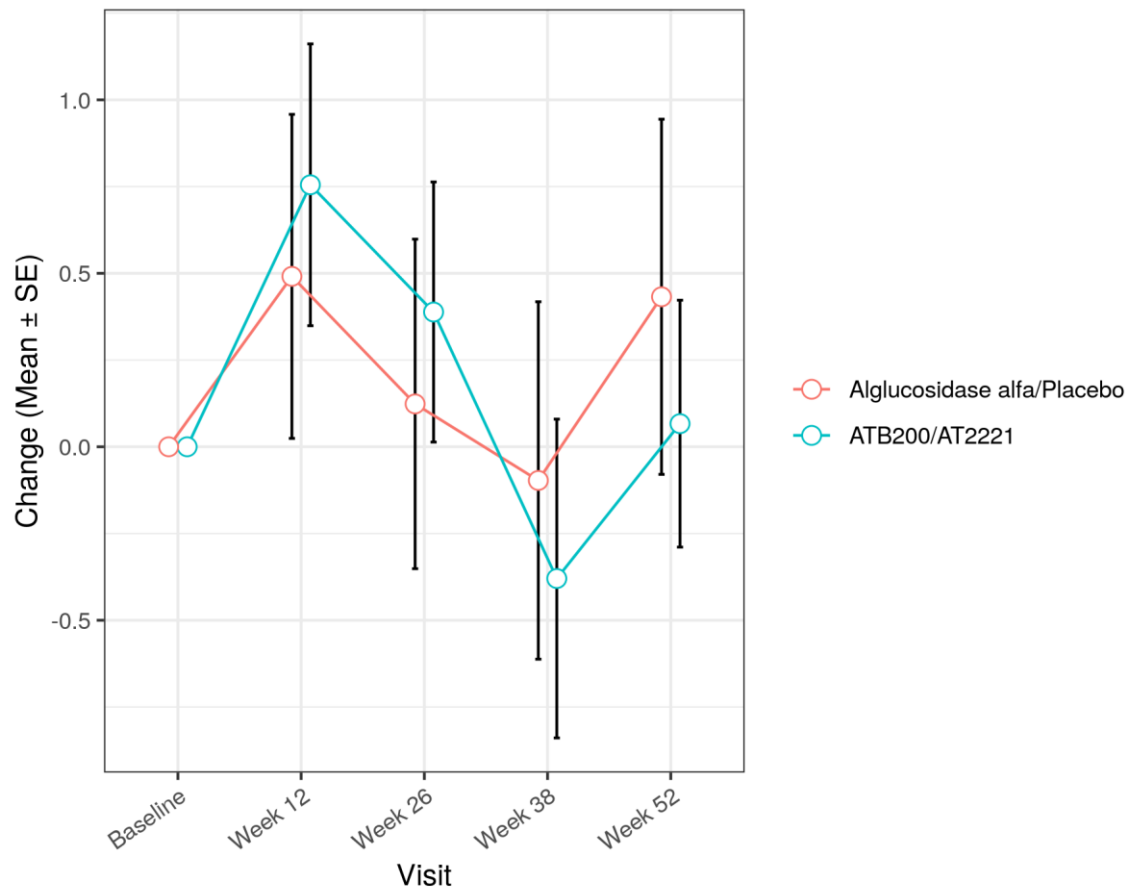
**Rasch-built Pompe-specific Activity (R-PAct)****35.7.1.08****35.7.1.08.01.1. Veränderung des R-PAct-Gesamtwertes****35.7.1.08.01.1. Veränderung des R-PAct-Gesamtwertes: Analyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglicosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>Veränderung des R-PAct-Gesamtwertes</b>			
<b>Baseline</b>			
n/N (%)	69/85 (81)	34/38 (89)	-
MW (SD)	20,26 (5,981)	21,16 (6,957)	
<b>Änderung zu Woche 12</b>			
n/N (%)	69/85 (81)	34/38 (89)	Hedges` g 0,08 [-0,336; 0,486] 0,7199
MW (SD)	0,76 (3,744)	0,49 (2,879)	
LS MW (SE)	0,65 (0,417)	0,71 (0,602)	LS MD -0,06 [-1,532; 1,419] 0,9392
95 %-KI	-0,179; 1,478	-0,488; 1,900	
<b>Änderung zu Woche 26</b>			
n/N (%)	69/85 (81)	34/38 (89)	Hedges` g 0,08 [-0,331; 0,491] 0,7033
MW (SD)	0,39 (3,456)	0,12 (2,927)	
LS MW (SE)	0,37 (0,387)	0,16 (0,558)	LS MD 0,22 [-1,153; 1,585] 0,7544
95 %-KI	-0,396; 1,141	-0,952; 1,264	
<b>Änderung zu Woche 38</b>			
n/N (%)	69/85 (81)	34/38 (89)	Hedges` g -0,07 [-0,482; 0,339] 0,7328
MW (SD)	-0,38 (4,236)	-0,10 (3,175)	

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
LS MW (SE)	-0,42 (0,468)	-0,02 (0,674)	LS MD -0,40 [-2,054; 1,253] 0,6319
95 %-KI	-1,347; 0,510	-1,357; 1,320	
<b>Änderung zu Woche 52</b>			
n/N (%)	69/85 (81)	34/38 (89)	Hedges` g -0,11 [-0,523; 0,299] 0,5932
MW (SD)	0,07 (3,281)	0,43 (3,155)	
LS MW (SE)	0,03 (0,385)	0,50 (0,556)	LS MD -0,47 [-1,829; 0,897] 0,4989
95 %-KI	-0,731; 0,799	-0,603; 1,602	
<p><sup>a</sup>Die Veränderung der Punktwerte gegenüber Baseline plus 95 %-KI und p-Wert zu jedem spezifizierten Zeitpunkt wurden mit einer ANCOVA, stratifiziert nach Geschlecht, Alter, Gewicht und Größe zu Baseline und ERT-Status mit dem Baseline-Wert der jeweiligen Skala als Kovariate auf Basis der Mittelwerte der kleinsten Quadrate analysiert. Das Effektmaß Hedges` g ist die Differenz der Mittelwerte geteilt durch die gepoolte Standardabweichung.</p> <p>ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; LS MD: Mittelwertdifferenz der kleinsten Quadrate; LS MW (SE): Mittelwert der kleinsten Quadrate (Standardfehler); MW (SD): Mittelwert (Standardabweichung); N: Patienten mit Baselinewert; n: Anzahl der Patienten mit Baselinewert in der Analyse</p>			

**35.7.1.08.01.1. Veränderung des R-Pact-Gesamtwertes Mittelwertveränderungsplot**

35.7.1.08.01



**35.7.1.08.01.1. Veränderung des R-PAct-Gesamtwertes: Interaktionstest**

<b>Veränderung des R-PAct-Gesamtwertes: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,8903
02	0,2539
03	0,5316
04	0,0673
05	0,9159
06	0,0142
07	0,0180
08	0,6983
09	0,1048
10	0,7755
<p><i><sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i></p> <p><i>In dem Interaktionstest bei Subgruppe 09 ERT-Dauer wird die Variable ERT-Status aus dem Model entfernt, da es keine Dauer der ERT Behandlung für ERT naive Patienten gibt</i></p>	

**35.7.1.08.01.1. Veränderung des R-Pact-Gesamtwertes: Subgruppenanalyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidadase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>Veränderung des R-Pact-Gesamtwertes</b>			
Baseline-Werte			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	30/36 (83)	18/20 (90)	-
MW (SD)	21,65 (6,913)	20,48 (7,326)	
2			
n/N (%)	39/49 (80)	16/18 (89)	-
MW (SD)	19,19 (4,985)	21,91 (6,673)	
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	35/42 (83)	15/19 (79)	-
MW (SD)	17,58 (4,630)	17,95 (5,819)	
2			
n/N (%)	34/43 (79)	19/19 (100)	-
MW (SD)	23,03 (6,007)	23,68 (6,864)	
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	36/42 (86)	14/17 (82)	-
MW (SD)	19,01 (5,490)	17,97 (3,035)	
2			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Algluco- sidade alfa/Placebo	
N	85	38	-
n/N (%)	33/43 (77)	20/21 (95)	-
MW (SD)	21,63 (6,275)	23,39 (8,067)	
Änderung zu Woche 12			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	30/36 (83)	18/20 (90)	Hedges` g
MW (SD)	0,52 (3,844)	-0,09 (2,663)	0,18 [-0,410; 0,761]
LS MW (SE)	0,57 (0,624)	-0,18 (0,820)	LS MD
95 %-KI	-0,686; 1,836	-1,837; 1,476	0,75 [-1,393; 2,903] 0,4818
2			
n/N (%)	39/49 (80)	16/18 (89)	Hedges` g
MW (SD)	0,93 (3,707)	1,15 (3,053)	-0,06 [-0,642; 0,522]
LS MW (SE)	0,69 (0,566)	1,75 (0,907)	LS MD
95 %-KI	-0,449; 1,827	-0,078; 3,569	-1,06 [-3,260; 1,147] 0,3400
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	35/42 (83)	15/19 (79)	Hedges` g
MW (SD)	-0,29 (3,900)	1,11 (2,892)	-0,38 [-0,990; 0,229]
LS MW (SE)	-0,54 (0,548)	1,69 (0,856)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-1,646; 0,566	-0,035; 3,421	-2,23 [-4,332; -0,134] 0,0376
2			
n/N (%)	34/43 (79)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	1,83 (3,296)	0,00 (2,848)	0,57 [0,001; 1,147]
LS MW (SE)	1,77 (0,556)	0,11 (0,749)	LS MD
95 %-KI	0,653; 2,893	-1,402; 1,614	1,67 [-0,231; 3,565] 0,0836
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	36/42 (86)	14/17 (82)	Hedges` g
MW (SD)	0,85 (2,861)	1,39 (3,894)	-0,17 [-0,785; 0,451]
LS MW (SE)	0,78 (0,544)	1,57 (0,884)	LS MD
95 %-KI	-0,323; 1,874	-0,215; 3,353	-0,79 [-2,912; 1,325] 0,4541
2			
n/N (%)	33/43 (77)	20/21 (95)	Hedges` g
MW (SD)	0,65 (4,563)	-0,13 (1,737)	0,21 [-0,350; 0,763]
LS MW (SE)	0,55 (0,665)	0,03 (0,866)	LS MD
95 %-KI	-0,787; 1,891	-1,709; 1,778	0,52 [-1,736; 2,772] 0,6458
Änderung zu Woche 26			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	30/36 (83)	18/20 (90)	Hedges` g
MW (SD)	0,48 (3,650)	-0,34 (3,070)	0,24 [-0,351; 0,822]
LS MW (SE)	0,64 (0,615)	-0,61 (0,808)	LS MD
95 %-KI	-0,602; 1,883	-2,244; 1,021	1,25 [-0,864; 3,368] 0,2391
2			
n/N (%)	39/49 (80)	16/18 (89)	Hedges` g
MW (SD)	0,32 (3,346)	0,65 (2,759)	-0,10 [-0,685; 0,480]
LS MW (SE)	0,26 (0,508)	0,79 (0,814)	LS MD
95 %-KI	-0,762; 1,280	-0,843; 2,431	-0,53 [-2,513; 1,443] 0,5891
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	35/42 (83)	15/19 (79)	Hedges` g
MW (SD)	-0,38 (3,271)	0,75 (3,380)	-0,33 [-0,944; 0,274]
LS MW (SE)	-0,36 (0,548)	0,70 (0,855)	LS MD
95 %-KI	-1,463; 0,747	-1,024; 2,428	-1,06 [-3,156; 1,036] 0,3134
2			
n/N (%)	34/43 (79)	19/19 (100)	Hedges` g



PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	1,18 (3,512)	-0,37 (2,499)	0,48 [-0,092; 1,046]
LS MW (SE)	1,08 (0,534)	-0,19 (0,720)	LS MD
95 %-KI	0,003; 2,156	-1,644; 1,255	1,27 [-0,550; 3,098] 0,1664
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	36/42 (86)	14/17 (82)	Hedges` g
MW (SD)	0,38 (2,938)	-0,11 (3,406)	0,16 [-0,461; 0,775]
LS MW (SE)	0,34 (0,504)	-0,02 (0,818)	LS MD
95 %-KI	-0,678; 1,354	-1,669; 1,631	0,36 [-1,603; 2,317] 0,7148
2			
n/N (%)	33/43 (77)	20/21 (95)	Hedges` g
MW (SD)	0,40 (3,993)	0,29 (2,622)	0,03 [-0,524; 0,587]
LS MW (SE)	0,38 (0,605)	0,33 (0,788)	LS MD
95 %-KI	-0,841; 1,596	-1,254; 1,919	0,05 [-2,006; 2,097] 0,9647
Änderung zu Woche 38			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	30/36 (83)	18/20 (90)	Hedges` g
MW (SD)	-0,72 (4,059)	-0,04 (2,404)	-0,19 [-0,775; 0,396]

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
LS MW (SE)	-0,63 (0,599)	-0,18 (0,787)	LS MD
95 %-KI	-1,844; 0,575	-1,770; 1,406	-0,45 [-2,512; 1,607] 0,6598
2			
n/N (%)	39/49 (80)	16/18 (89)	Hedges` g
MW (SD)	-0,12 (4,401)	-0,16 (3,953)	0,01 [-0,572; 0,592]
LS MW (SE)	-0,17 (0,719)	-0,03 (1,152)	LS MD
95 %-KI	-1,616; 1,274	-2,348; 2,283	-0,14 [-2,937; 2,660] 0,9212
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	35/42 (83)	15/19 (79)	Hedges` g
MW (SD)	-1,03 (3,450)	0,05 (3,808)	-0,30 [-0,907; 0,309]
LS MW (SE)	-1,11 (0,607)	0,22 (0,948)	LS MD
95 %-KI	-2,334; 0,115	-1,690; 2,135	-1,33 [-3,656; 0,991] 0,2536
2			
n/N (%)	34/43 (79)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,29 (4,877)	-0,21 (2,679)	0,12 [-0,444; 0,679]
LS MW (SE)	0,22 (0,707)	-0,08 (0,951)	LS MD
95 %-KI	-1,199; 1,647	-2,001; 1,831	0,31 [-2,103; 2,721] 0,7976

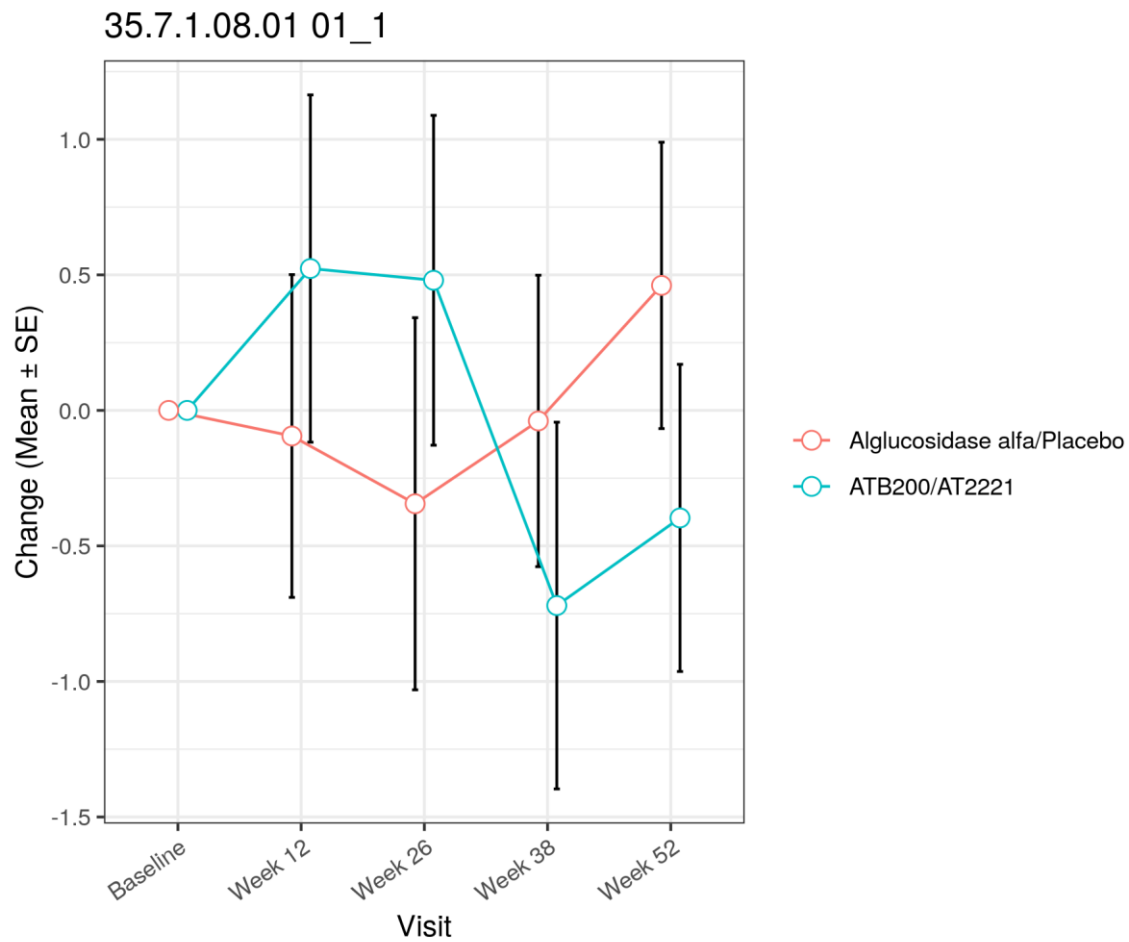
PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Algluco- sidade alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	36/42 (86)	14/17 (82)	Hedges` g
MW (SD)	-0,49 (4,468)	-0,76 (3,666)	0,06 [-0,555; 0,680]
LS MW (SE)	-0,51 (0,714)	-0,70 (1,159)	LS MD
95 %-KI	-1,948; 0,932	-3,039; 1,637	0,19 [-2,583; 2,970] 0,8889
2			
n/N (%)	33/43 (77)	20/21 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,26 (4,033)	0,37 (2,787)	-0,17 [-0,728; 0,385]
LS MW (SE)	-0,38 (0,582)	0,56 (0,758)	LS MD
95 %-KI	-1,557; 0,788	-0,963; 2,090	-0,95 [-2,921; 1,026] 0,3386
Änderung zu Woche 52			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	30/36 (83)	18/20 (90)	Hedges` g
MW (SD)	-0,40 (3,399)	0,46 (2,362)	-0,28 [-0,863; 0,311]
LS MW (SE)	-0,27 (0,542)	0,26 (0,711)	LS MD
95 %-KI	-1,368; 0,819	-1,179; 1,694	-0,53 [-2,394; 1,331] 0,5675
2			
n/N (%)	39/49 (80)	16/18 (89)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Alglucosidade alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	0,42 (3,184)	0,40 (3,946)	0,01 [-0,575; 0,589]
LS MW (SE)	0,36 (0,565)	0,55 (0,905)	LS MD
95 %-KI	-0,776; 1,496	-1,266; 2,375	-0,19 [-2,394; 2,006] 0,8598
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	35/42 (83)	15/19 (79)	Hedges` g
MW (SD)	-0,80 (2,829)	0,65 (3,906)	-0,45 [-1,060; 0,163]
LS MW (SE)	-0,69 (0,542)	0,37 (0,847)	LS MD
95 %-KI	-1,779; 0,409	-1,338; 2,081	-1,06 [-3,133; 1,019] 0,3102
2			
n/N (%)	34/43 (79)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,96 (3,508)	0,26 (2,513)	0,22 [-0,347; 0,779]
LS MW (SE)	0,80 (0,510)	0,55 (0,687)	LS MD
95 %-KI	-0,226; 1,828	-0,832; 1,934	0,25 [-1,492; 1,990] 0,7744
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	36/42 (86)	14/17 (82)	Hedges` g
MW (SD)	0,16 (2,596)	-0,04 (3,127)	0,07 [-0,546; 0,689]
LS MW (SE)	0,15 (0,468)	-0,04 (0,760)	LS MD

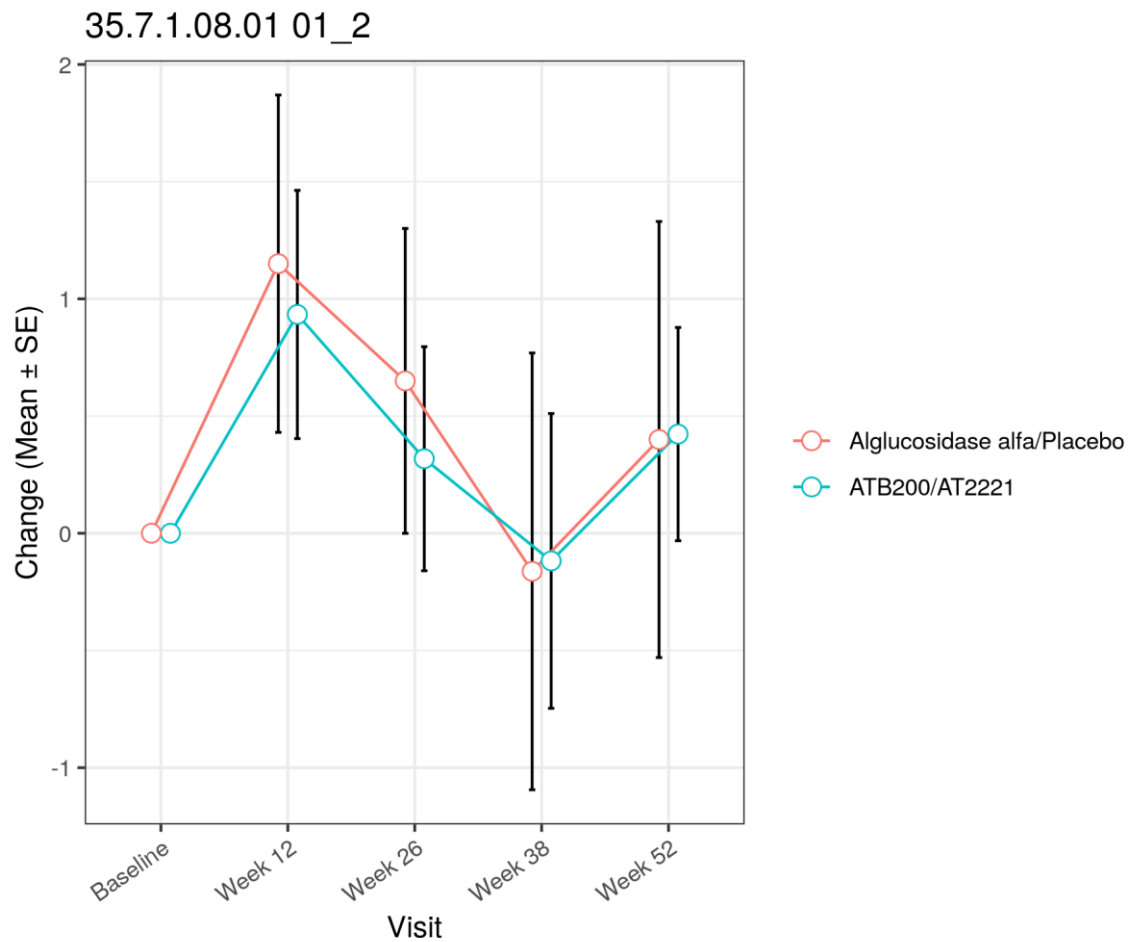
PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-0,791; 1,098	-1,571; 1,495	0,19 [-1,630; 2,012] 0,8332
2			
n/N (%)	33/43 (77)	20/21 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-0,03 (3,934)	0,77 (3,212)	-0,21 [-0,770; 0,344]
LS MW (SE)	-0,22 (0,607)	1,07 (0,790)	LS MD
95 %-KI	-1,439; 1,006	-0,520; 2,664	-1,29 [-3,347; 0,770] 0,2139
<p><sup>a</sup>Die Veränderung der Punktwerte gegenüber Baseline plus 95 %-KI und p-Wert zu jedem spezifizierten Zeitpunkt wurden mit einer ANCOVA, stratifiziert nach Geschlecht, Alter, Gewicht und Größe zu Baseline und ERT-Status mit dem Baseline-Wert der jeweiligen Skala als Kovariate auf Basis der Mittelwerte der kleinsten Quadrate analysiert.durch die gepoolte Standardabweichung.</p> <p>ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; LS MD: Mittelwertdifferenz der kleinsten Quadrate; LS MW (SE): Mittelwert der kleinsten Quadrate (Standardfehler); MW (SD): Mittelwert (Standardabweichung); N: Patienten mit Baselinewert; n: Anzahl der Patienten mit Baselinewert in der Analyse</p>			

### 35.7.1.08.01.1. Veränderung des R-PAct-Gesamtwertes: Mittelwertveränderungsplots der Subgruppen

#### 35.7.1.08.01.1. Veränderung des R-PAct-Gesamtwertes Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 01\_1

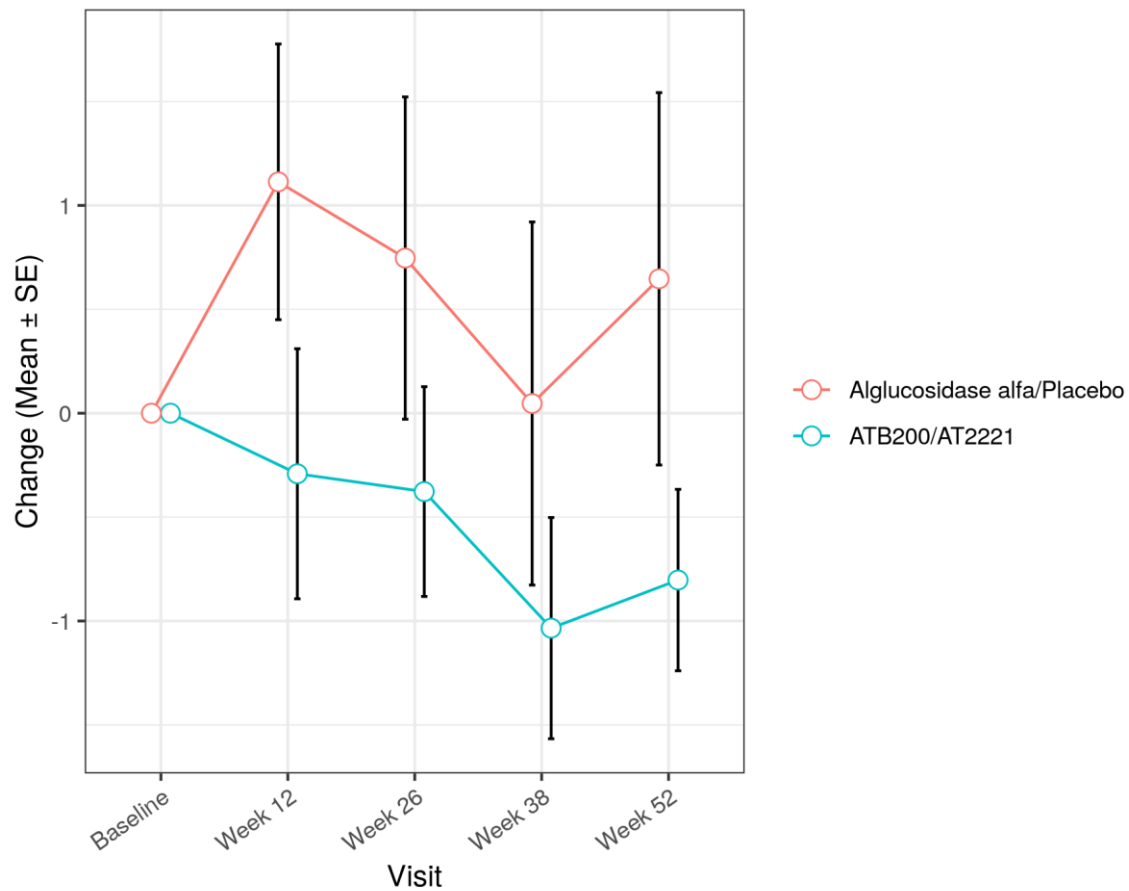


**35.7.1.08.01.1. Veränderung des R-Pact-Gesamtwertes Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 01\_2**



**35.7.1.08.01.1. Veränderung des R-Pact-Gesamtwertes Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 07\_1**

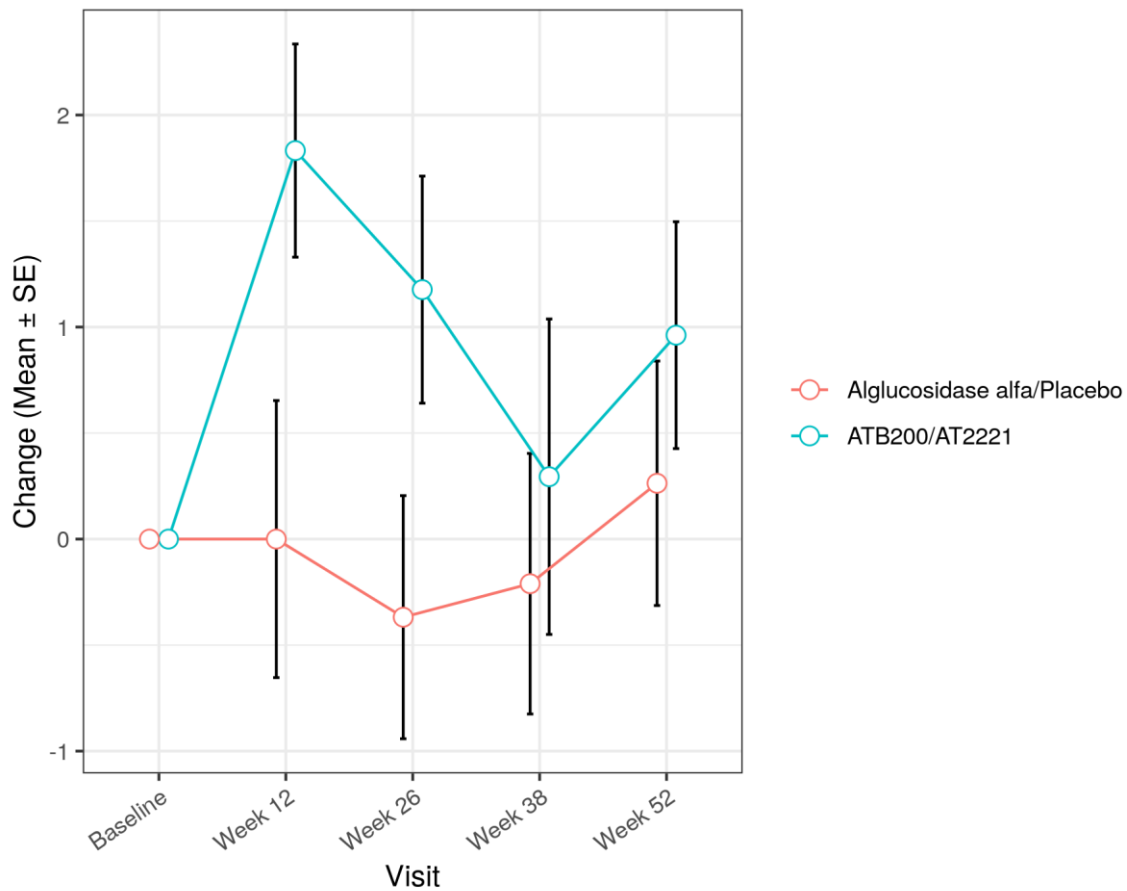
35.7.1.08.01 07\_1





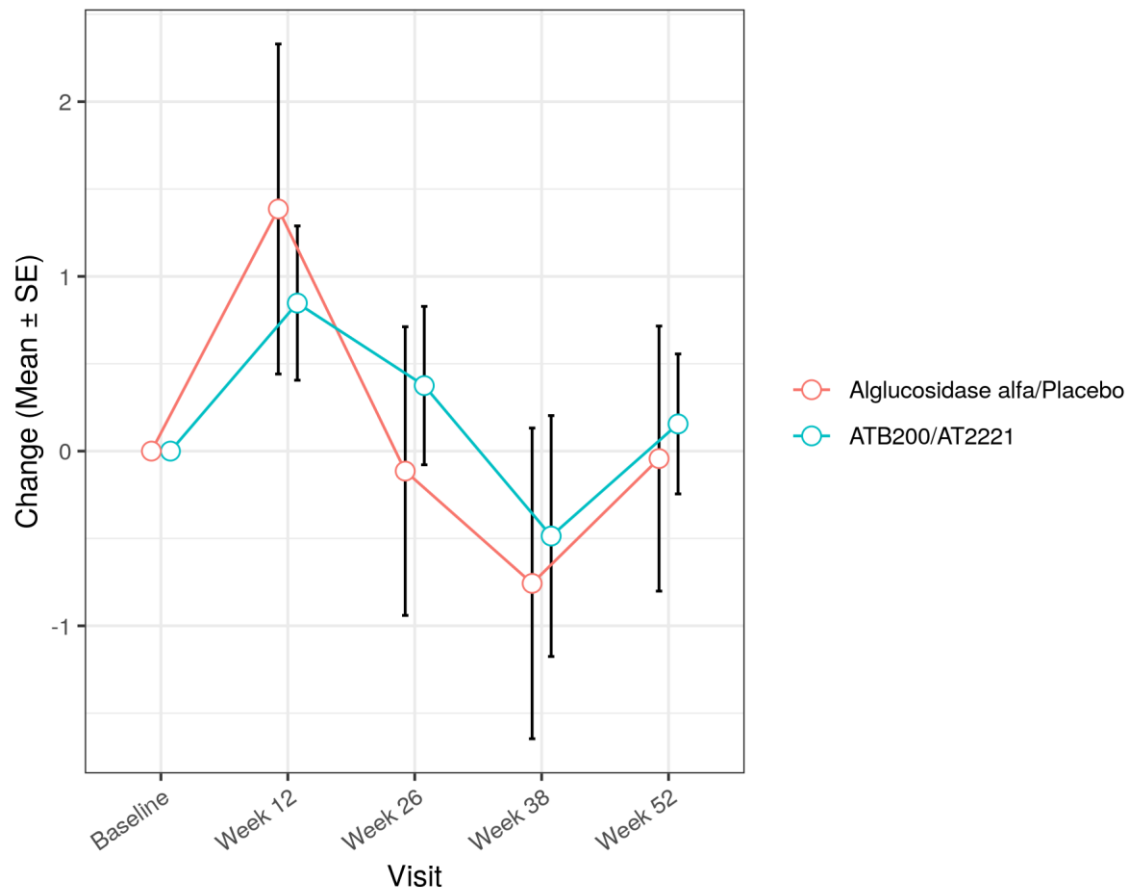
**35.7.1.08.01.1. Veränderung des R-Pact-Gesamtwertes Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 07\_2**

35.7.1.08.01 07\_2

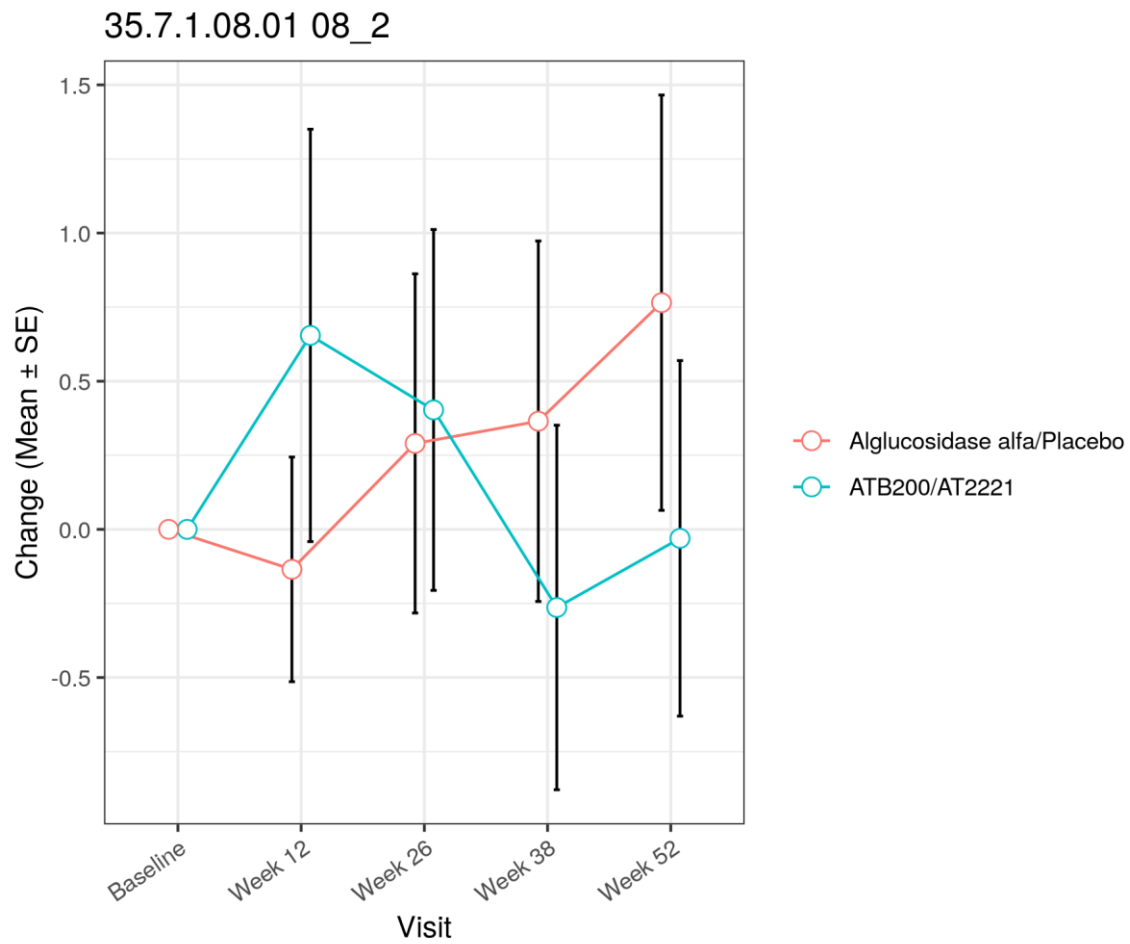


**35.7.1.08.01.1. Veränderung des R-Pact-Gesamtwertes Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 08\_1**

35.7.1.08.01 08\_1



**35.7.1.08.01.1. Veränderung des R-Pact-Gesamtwertes Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 08\_2**



**35.7.1.08.02.2. Verbesserung um 5,4 Punkte im R-PAct gegenüber Baseline im Gesamtwert MID = 15 %****35.7.1.08.02.2. Verbesserung um 5,4 Punkte im R-PAct gegenüber Baseline im Gesamtwert MID = 15 %: Interaktionstest**

<b>Verbesserung um 5,4 Punkte im R-PAct gegenüber Baseline im Gesamtwert MID = 15 %: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,6374
02	0,9730
03	0,3080
04	0,0637
05	0,0237
06	0,1871
07	0,0979
08	0,2850
09	0,0236
10	0,3733

<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.

**35.7.1.08.02.2. Verbesserung um 5,4 Punkte im R-PAct gegenüber Baseline im Gesamtwert MID = 15 %: Subgruppenanalyse**

<b>Verbesserung um 5,4 Punkte im R-PAct gegenüber Baseline im Gesamtwert MID = 15 %</b>			
		<b>Cipaglusidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>01</b>			
1	N	36	20
	Ereignisse, n (%)	4 (11)	1 (5)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	2,32 [0,291; 18,483] p = 0,4272	
2	N	49	18
	Ereignisse, n (%)	10 (20)	3 (17)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,87 [0,257; 2,914] p = 0,8153	
<b>02</b>			
<b>03</b>			
<b>04</b>			
<b>05</b>			
<b>06</b>			
<b>07</b>			
1	N	42	19
	Ereignisse, n (%)	4 (10)	3 (16)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,52 [0,118; 2,252] p = 0,3782	
2	N	43	19
	Ereignisse, n (%)	10 (23)	1 (5)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	4,13 [0,592; 28,861] p = 0,1524	
<b>08</b>			
<b>09</b>			
<b>10</b>			

<b>Verbesserung um 5,4 Punkte im R-PAct gegenüber Baseline im Gesamtwert MID = 15 %</b>		
	<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidade alfa/Placebo</b>
<p><i>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach den zwei Faktoren „Baseline 6MWD“ und „ERT Status“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</i></p> <p><i>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</i></p>		

**35.7.1.08.03.2. Verschlechterung um 5,4 Punkte im R-PAct gegenüber Baseline im Gesamtwert MID = 15 %****35.7.1.08.03.2. Verschlechterung um 5,4 Punkte im R-PAct gegenüber Baseline im Gesamtwert MID = 15 %: Interaktionstest**

<b>Verschlechterung um 5,4 Punkte im R-PAct gegenüber Baseline im Gesamtwert MID = 15 %: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,7940
02	0,5376
03	0,3617
04	0,4999
05	0,1427
06	0,0936
07	0,7376
08	0,0555
09	0,5155
10	0,9999
<i><sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

**European Quality of Life 5 Dimensions Visual Analogue Scale (EQ-5D-VAS)****35.7.1.09****35.7.1.09.01.1. Veränderung des EQ-VAS-Wertes****35.7.1.09.01.1. Veränderung des EQ-VAS-Wertes: Analyse**

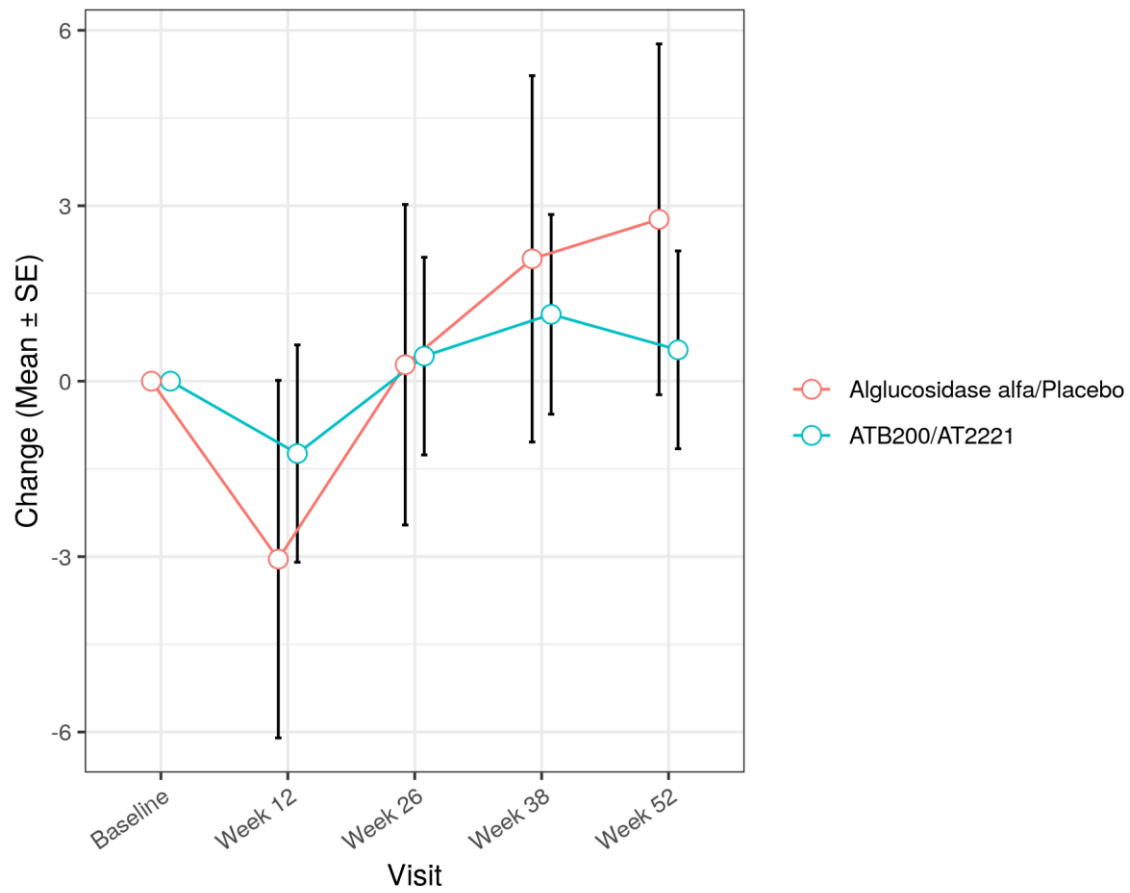
PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidas- e alfa/Mig- lustat	Algluco- sidas- e alfa/Place- bo	
N	85	38	-
<b>Veränderung des EQ-VAS-Wertes</b>			
<b>Baseline</b>			
n/N (%)	84/85 (99)	37/38 (97)	-
MW (SD)	68,86 (18,253)	71,91 (15,203)	
<b>Änderung zu Woche 12</b>			
n/N (%)	84/85 (99)	37/38 (97)	Hedges` g 0,10 [-0,285; 0,488] 0,6071
MW (SD)	-1,24 (17,136)	-3,04 (18,848)	
LS MW (SE)	-1,34 (1,603)	-2,81 (2,460)	LS MD 1,47 [-4,465; 7,402] 0,6248
95 %-KI	-4,517; 1,835	-7,684; 2,065	
<b>Änderung zu Woche 26</b>			
n/N (%)	84/85 (99)	37/38 (97)	Hedges` g 0,01 [-0,378; 0,396] 0,9630
MW (SD)	0,43 (15,588)	0,28 (16,896)	
LS MW (SE)	0,34 (1,459)	0,49 (2,239)	LS MD -0,15 [-5,549; 5,247] 0,9558
95 %-KI	-2,553; 3,227	-3,947; 4,924	
<b>Änderung zu Woche 38</b>			
n/N (%)	84/85 (99)	37/38 (97)	



PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	1,14 (15,740)	2,09 (19,311)	Hedges` g -0,06 [-0,443; 0,331] 0,7774
LS MW (SE)	0,96 (1,561)	2,50 (2,396)	LS MD -1,54 [-7,315; 4,240] 0,5991
95 %-KI	-2,130; 4,056	-2,246; 7,247	
<b>Änderung zu Woche 52</b>			
n/N (%)	84/85 (99)	37/38 (97)	Hedges` g -0,13 [-0,521; 0,253] 0,4969
MW (SD)	0,54 (15,597)	2,77 (18,493)	
LS MW (SE)	0,05 (1,538)	3,87 (2,361)	LS MD -3,82 [-9,510; 1,874] 0,1865
95 %-KI	-2,997; 3,098	-0,808; 8,545	
<p><i><sup>a</sup>Die Veränderung der Punktwerte gegenüber Baseline plus 95 %-KI und p-Wert zu jedem spezifizierten Zeitpunkt wurden mit einer ANCOVA, stratifiziert nach Geschlecht, Alter, Gewicht und Größe zu Baseline und ERT-Status mit dem Baseline-Wert der jeweiligen Skala als Kovariate auf Basis der Mittelwerte der kleinsten Quadrate analysiert. Das Effektmaß Hedges` g ist die Differenz der Mittelwerte geteilt durch die gepoolte Standardabweichung.</i></p> <p><i>ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; LS MD: Mittelwertdifferenz der kleinsten Quadrate; LS MW (SE): Mittelwert der kleinsten Quadrate (Standardfehler); MW (SD): Mittelwert (Standardabweichung); N: Patienten mit Baselinewert; n: Anzahl der Patienten mit Baselinewert in der Analyse</i></p>			

**35.7.1.09.01.1. Veränderung des EQ-VAS-Wertes Mittelwertveränderungsplot**

35.7.1.09.01



**35.7.1.09.01.1. Veränderung des EQ-VAS-Wertes: Interaktionstest**

<b>Veränderung des EQ-VAS-Wertes: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,3147
02	0,0835
03	0,5583
04	0,0175
05	0,0264
06	0,9468
07	0,7793
08	0,1049
09	0,0179
10	0,8695

*<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.*

*In dem Interaktionstest bei Subgruppe 09 ERT-Dauer wird die Variable ERT-Status aus dem Model entfernt, da es keine Dauer der ERT Behandlung für ERT naïve Patienten gibt*

**35.7.1.09.01.1. Veränderung des EQ-VAS-Wertes: Subgruppenanalyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>Veränderung des EQ-VAS-Wertes</b>			
Baseline-Werte			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	35/36 (97)	20/20 (100)	-
MW (SD)	69,37 (16,619)	69,24 (15,583)	
2			
n/N (%)	49/49 (100)	17/18 (94)	-
MW (SD)	68,49 (19,498)	75,05 (14,571)	
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	-
MW (SD)	75,12 (11,927)	74,09 (6,640)	
2			
n/N (%)	42/43 (98)	11/12 (92)	-
MW (SD)	66,05 (20,272)	70,44 (19,165)	
3			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	-
MW (SD)	69,54 (17,548)	71,39 (17,168)	
<b>07</b>			
1			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
<b>N</b>	<b>85</b>	<b>38</b>	-
n/N (%)	41/42 (98)	18/19 (95)	-
MW (SD)	64,54 (18,053)	68,98 (13,274)	
<b>2</b>			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	-
MW (SD)	72,98 (17,676)	74,68 (16,707)	
<b>08</b>			
<b>1</b>			
n/N (%)	41/42 (98)	16/17 (94)	-
MW (SD)	67,20 (16,049)	69,05 (11,578)	
<b>2</b>			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	-
MW (SD)	70,44 (20,196)	74,09 (17,435)	
Änderung zu Woche 12			
<b>01</b>			
<b>1</b>			
n/N (%)	35/36 (97)	20/20 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-2,63 (17,237)	-2,24 (15,500)	-0,02 [-0,572; 0,526]
LS MW (SE)	-2,07 (2,290)	-3,22 (3,077)	LS MD
95 %-KI	-6,675; 2,535	-9,405; 2,969	1,15 [-6,764; 9,059] 0,7718
<b>2</b>			
n/N (%)	49/49 (100)	17/18 (94)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	-0,24 (17,173)	-3,99 (22,632)	0,20 [-0,355; 0,751]
LS MW (SE)	-1,29 (2,183)	-0,97 (3,826)	LS MD
95 %-KI	-5,661; 3,074	-8,620; 6,690	-0,33 [-9,357; 8,700] 0,9422
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,94 (12,217)	-7,27 (14,725)	0,46 [-0,317; 1,242]
LS MW (SE)	0,08 (3,234)	-8,75 (4,002)	LS MD
95 %-KI	-6,690; 6,846	-17,126; -0,374	8,83 [-2,637; 20,293] 0,1235
2			
n/N (%)	42/43 (98)	11/12 (92)	Hedges` g
MW (SD)	-2,33 (17,334)	-10,44 (22,841)	0,43 [-0,239; 1,100]
LS MW (SE)	-2,56 (2,412)	-9,58 (4,783)	LS MD
95 %-KI	-7,416; 2,298	-19,210; 0,058	7,02 [-3,861; 17,896] 0,2005
3			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,35 (19,696)	5,48 (15,847)	-0,27 [-0,912; 0,365]
LS MW (SE)	0,31 (2,749)	5,55 (3,692)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-5,287; 5,898	-1,961; 13,063	-5,25 [-14,928; 4,438] 0,2784
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	41/42 (98)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	-1,76 (18,070)	-0,76 (20,878)	-0,05 [-0,606; 0,502]
LS MW (SE)	-2,34 (2,437)	0,58 (3,830)	LS MD
95 %-KI	-7,234; 2,553	-7,113; 8,264	-2,92 [-12,413; 6,582] 0,5405
2			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,74 (16,396)	-5,21 (16,989)	0,27 [-0,276; 0,808]
LS MW (SE)	-0,65 (2,184)	-5,43 (3,316)	LS MD
95 %-KI	-5,024; 3,732	-12,080; 1,215	4,79 [-3,253; 12,826] 0,2378
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	41/42 (98)	16/17 (94)	Hedges` g
MW (SD)	-1,56 (16,630)	-4,49 (20,903)	0,16 [-0,417; 0,740]
LS MW (SE)	-2,07 (2,270)	-3,19 (3,695)	LS MD
95 %-KI	-6,630; 2,494	-10,615; 4,237	1,12 [-7,726; 9,968] 0,8000

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglicosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
2			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,93 (17,797)	-1,94 (17,572)	0,06 [-0,465; 0,578]
LS MW (SE)	-0,85 (2,275)	-2,11 (3,323)	LS MD
95 %-KI	-5,404; 3,709	-8,769; 4,545	1,26 [-7,013; 9,542] 0,7607
Änderung zu Woche 26			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	35/36 (97)	20/20 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-1,11 (15,592)	0,11 (16,263)	-0,08 [-0,626; 0,473]
LS MW (SE)	-0,84 (2,291)	-0,37 (3,078)	LS MD
95 %-KI	-5,448; 3,765	-6,556; 5,822	-0,47 [-8,389; 7,439] 0,9045
2			
n/N (%)	49/49 (100)	17/18 (94)	Hedges` g
MW (SD)	1,53 (15,653)	0,48 (18,114)	0,06 [-0,488; 0,615]
LS MW (SE)	0,84 (1,876)	2,46 (3,289)	LS MD
95 %-KI	-2,910; 4,599	-4,121; 9,041	-1,62 [-9,377; 6,146] 0,6786
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges` g



PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	-0,19 (9,642)	-2,64 (14,438)	0,20 [-0,569; 0,971]
LS MW (SE)	-0,14 (3,416)	-2,70 (4,228)	LS MD
95 %-KI	-7,294; 7,007	-11,549; 6,149	2,56 [-9,557; 14,669] 0,6637
2			
n/N (%)	42/43 (98)	11/12 (92)	Hedges` g
MW (SD)	-2,52 (14,380)	-2,35 (23,033)	-0,01 [-0,675; 0,653]
LS MW (SE)	-2,66 (2,035)	-1,82 (4,037)	LS MD
95 %-KI	-6,760; 1,438	-9,951; 6,309	-0,84 [-10,021; 8,340] 0,8545
3			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	5,58 (19,219)	4,35 (13,282)	0,07 [-0,566; 0,705]
LS MW (SE)	5,36 (2,744)	4,72 (3,685)	LS MD
95 %-KI	-0,222; 10,941	-2,775; 12,221	0,64 [-9,029; 10,301] 0,8942
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	41/42 (98)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	0,88 (17,693)	-0,76 (19,317)	0,09 [-0,466; 0,643]
LS MW (SE)	0,42 (2,279)	0,29 (3,581)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-4,157; 4,996	-6,901; 7,479	0,13 [-8,752; 9,012] 0,9766
2			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,00 (13,478)	1,26 (14,711)	-0,09 [-0,630; 0,450]
LS MW (SE)	-0,04 (1,814)	1,35 (2,755)	LS MD
95 %-KI	-3,676; 3,599	-4,172; 6,874	-1,39 [-8,069; 5,290] 0,6783
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	41/42 (98)	16/17 (94)	Hedges` g
MW (SD)	0,05 (14,795)	-3,61 (16,989)	0,23 [-0,345; 0,814]
LS MW (SE)	-0,36 (2,013)	-2,56 (3,277)	LS MD
95 %-KI	-4,408; 3,683	-9,145; 4,025	2,20 [-5,648; 10,043] 0,5761
2			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	Hedges` g
MW (SD)	0,79 (16,476)	3,25 (16,613)	-0,15 [-0,669; 0,376]
LS MW (SE)	0,94 (2,088)	2,94 (3,050)	LS MD
95 %-KI	-3,244; 5,121	-3,166; 9,055	-2,01 [-9,603; 5,592] 0,5991
Änderung zu Woche 38			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	35/36 (97)	20/20 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-2,37 (12,331)	4,31 (15,679)	-0,48 [-1,041; 0,074]
LS MW (SE)	-1,84 (2,124)	3,38 (2,853)	LS MD
95 %-KI	-6,113; 2,428	-2,353; 9,121	-5,23 [-12,563; 2,110] 0,1585
2			
n/N (%)	49/49 (100)	17/18 (94)	Hedges` g
MW (SD)	3,65 (17,471)	-0,52 (23,103)	0,22 [-0,336; 0,770]
LS MW (SE)	2,66 (2,265)	2,36 (3,970)	LS MD
95 %-KI	-1,877; 7,187	-5,585; 10,303	0,30 [-9,073; 9,665] 0,9498
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges` g
MW (SD)	5,50 (16,432)	1,36 (10,510)	0,28 [-0,493; 1,051]
LS MW (SE)	5,28 (3,390)	1,69 (4,195)	LS MD
95 %-KI	-1,819; 12,373	-7,093; 10,469	3,59 [-8,432; 15,609] 0,5395
2			
n/N (%)	42/43 (98)	11/12 (92)	Hedges` g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	-2,19 (13,614)	-2,16 (25,082)	-0,00 [-0,665; 0,662]
LS MW (SE)	-2,17 (2,039)	-2,23 (4,045)	LS MD
95 %-KI	-6,279; 1,935	-10,381; 5,912	0,06 [-9,137; 9,261] 0,9892
<b>3</b>			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	3,85 (17,836)	5,75 (20,043)	-0,10 [-0,736; 0,536]
LS MW (SE)	3,87 (3,043)	5,70 (4,088)	LS MD
95 %-KI	-2,320; 10,064	-2,615; 14,020	-1,83 [-12,552; 8,891] 0,7305
<b>07</b>			
<b>1</b>			
n/N (%)	41/42 (98)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	3,07 (15,769)	3,24 (21,737)	-0,01 [-0,564; 0,545]
LS MW (SE)	2,82 (2,401)	3,83 (3,772)	LS MD
95 %-KI	-2,004; 7,635	-3,740; 11,404	-1,02 [-10,371; 8,337] 0,8281
<b>2</b>			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,70 (15,673)	1,00 (17,234)	-0,10 [-0,644; 0,436]
LS MW (SE)	-0,72 (2,164)	1,05 (3,286)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-5,059; 3,618	-5,535; 7,640	-1,77 [-9,740; 6,193] 0,6572
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	41/42 (98)	16/17 (94)	Hedges` g
MW (SD)	0,66 (15,581)	0,26 (23,699)	0,02 [-0,556; 0,599]
LS MW (SE)	0,43 (2,389)	0,84 (3,888)	LS MD
95 %-KI	-4,368; 5,233	-6,972; 8,655	-0,41 [-9,718; 8,899] 0,9300
2			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	Hedges` g
MW (SD)	1,60 (16,060)	3,49 (15,663)	-0,12 [-0,639; 0,406]
LS MW (SE)	1,18 (2,036)	4,35 (2,974)	LS MD
95 %-KI	-2,897; 5,259	-1,604; 10,311	-3,17 [-10,580; 4,236] 0,3946
Änderung zu Woche 52			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	35/36 (97)	20/20 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-2,11 (15,459)	4,16 (15,249)	-0,40 [-0,957; 0,153]
LS MW (SE)	-2,27 (2,293)	4,43 (3,081)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
95 %-KI	-6,881; 2,340	-1,761; 10,627	-6,70 [-14,624; 1,217] 0,0953
2			
n/N (%)	49/49 (100)	17/18 (94)	Hedges` g
MW (SD)	2,43 (15,575)	1,13 (22,093)	0,07 [-0,478; 0,625]
LS MW (SE)	1,36 (2,129)	4,20 (3,731)	LS MD
95 %-KI	-2,896; 5,623	-3,265; 11,666	-2,84 [-11,643; 5,968] 0,5215
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges` g
MW (SD)	2,19 (15,289)	0,91 (12,413)	0,09 [-0,681; 0,855]
LS MW (SE)	1,08 (3,499)	2,52 (4,330)	LS MD
95 %-KI	-6,245; 8,403	-6,541; 11,585	-1,44 [-13,849; 10,963] 0,8103
2			
n/N (%)	42/43 (98)	11/12 (92)	Hedges` g
MW (SD)	-3,05 (16,609)	1,20 (24,796)	-0,23 [-0,892; 0,439]
LS MW (SE)	-3,09 (2,334)	1,38 (4,630)	LS MD
95 %-KI	-7,796; 1,606	-7,944; 10,705	-4,48 [-15,005; 6,054] 0,3965
3			

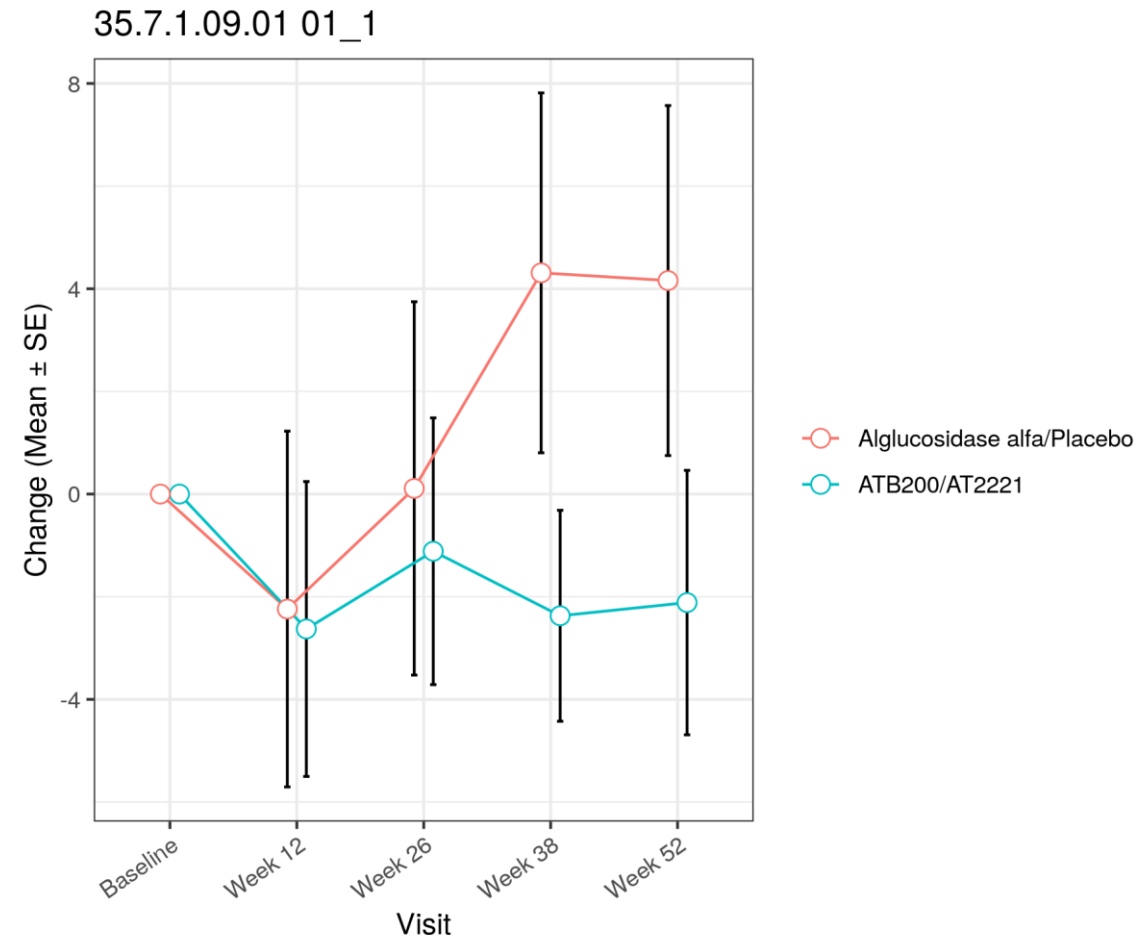
PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges` g
MW (SD)	5,31 (12,961)	5,28 (17,854)	0,00 [-0,634; 0,637]
LS MW (SE)	4,83 (2,595)	6,11 (3,485)	LS MD
95 %-KI	-0,449; 10,109	-0,984; 13,198	-1,28 [-10,418; 7,864] 0,7780
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	41/42 (98)	18/19 (95)	Hedges` g
MW (SD)	2,90 (14,810)	2,58 (19,035)	0,02 [-0,534; 0,574]
LS MW (SE)	2,41 (2,248)	3,70 (3,532)	LS MD
95 %-KI	-2,101; 6,925	-3,396; 10,787	-1,28 [-10,044; 7,476] 0,7698
2			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-1,72 (16,160)	2,95 (18,486)	-0,27 [-0,815; 0,269]
LS MW (SE)	-2,09 (2,220)	3,78 (3,371)	LS MD
95 %-KI	-6,540; 2,363	-2,980; 10,538	-5,87 [-14,042; 2,308] 0,1559
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	41/42 (98)	16/17 (94)	Hedges` g
MW (SD)	1,54 (15,353)	-3,11 (20,898)	0,27 [-0,311; 0,849]

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
LS MW (SE)	0,79 (2,271)	-1,21 (3,696)	LS MD
95 %-KI	-3,770; 5,356	-8,634; 6,221	2,00 [-6,850; 10,849] 0,6518
2			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	Hedges` g
MW (SD)	-0,42 (15,948)	7,25 (15,470)	-0,48 [-1,008; 0,049]
LS MW (SE)	-0,91 (1,979)	8,25 (2,891)	LS MD
95 %-KI	-4,871; 3,058	2,454; 14,038	-9,15 [-16,354; -1,950] 0,0137
<p><sup>a</sup>Die Veränderung der Punktwerte gegenüber Baseline plus 95 %-KI und p-Wert zu jedem spezifizierten Zeitpunkt wurden mit einer ANCOVA, stratifiziert nach Geschlecht, Alter, Gewicht und Größe zu Baseline und ERT-Status mit dem Baseline-Wert der jeweiligen Skala als Kovariate auf Basis der Mittelwerte der kleinsten Quadrate analysiert.durch die gepoolte Standardabweichung.</p> <p>ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; LS MD: Mittelwertdifferenz der kleinsten Quadrate; LS MW (SE): Mittelwert der kleinsten Quadrate (Standardfehler); MW (SD): Mittelwert (Standardabweichung); N: Patienten mit Baselinewert; n: Anzahl der Patienten mit Baselinewert in der Analyse</p>			



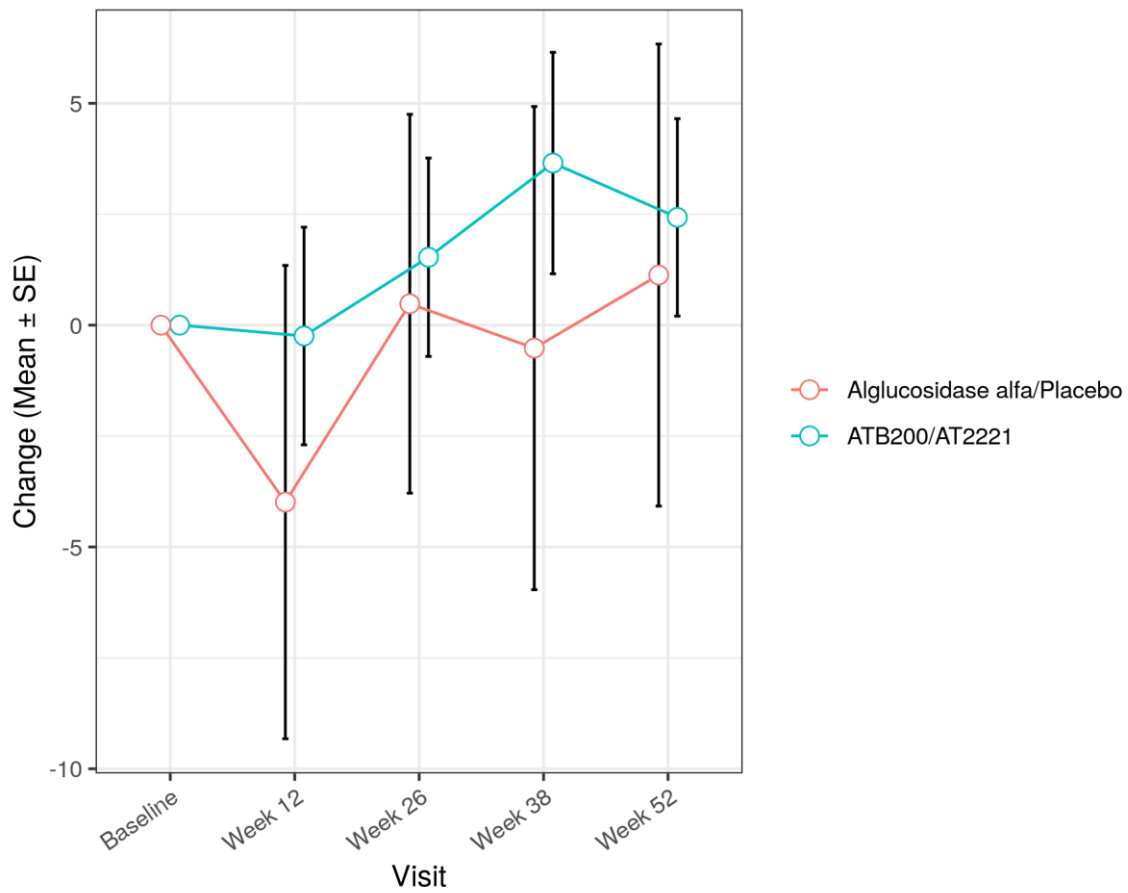
### 35.7.1.09.01.1. Veränderung des EQ-VAS-Wertes: Mittelwertveränderungsplots der Subgruppen

#### 35.7.1.09.01.1. Veränderung des EQ-VAS-Wertes Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 01\_1



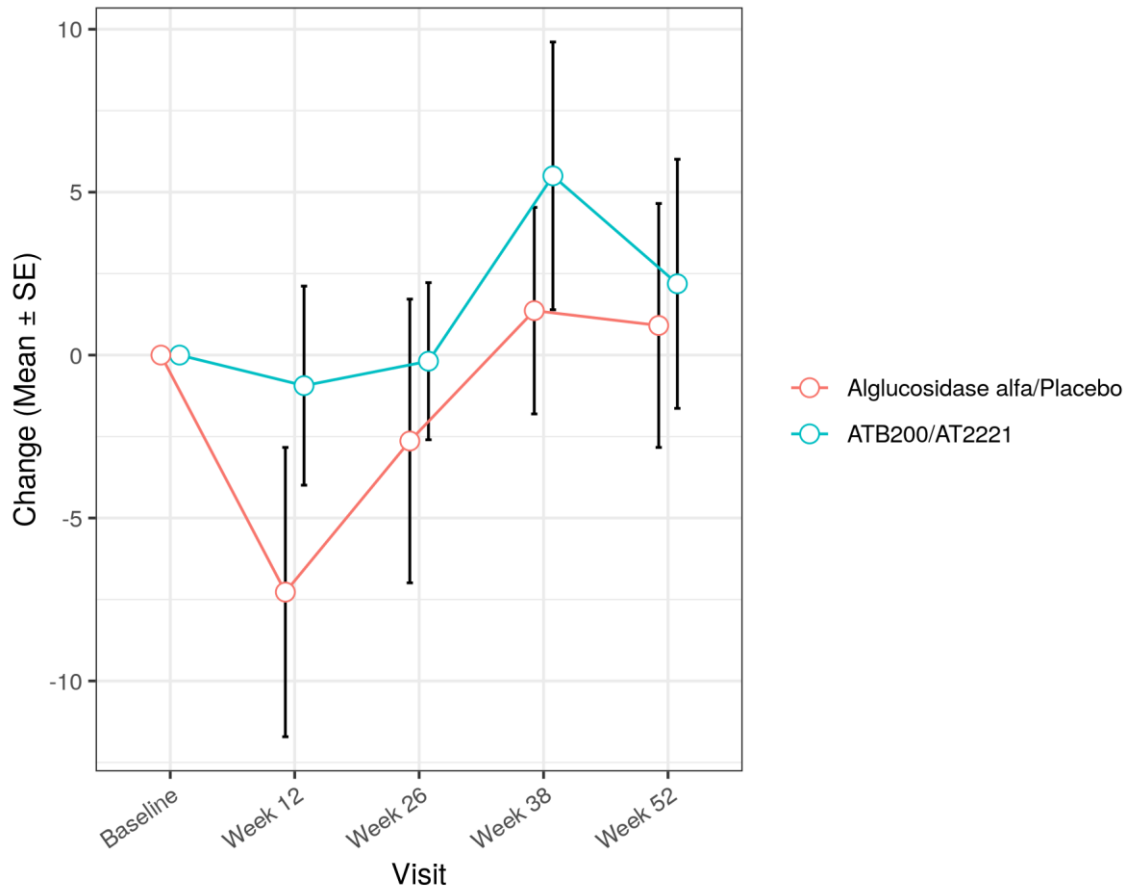
**35.7.1.09.01.1. Veränderung des EQ-VAS-Wertes Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 01\_2**

35.7.1.09.01 01\_2



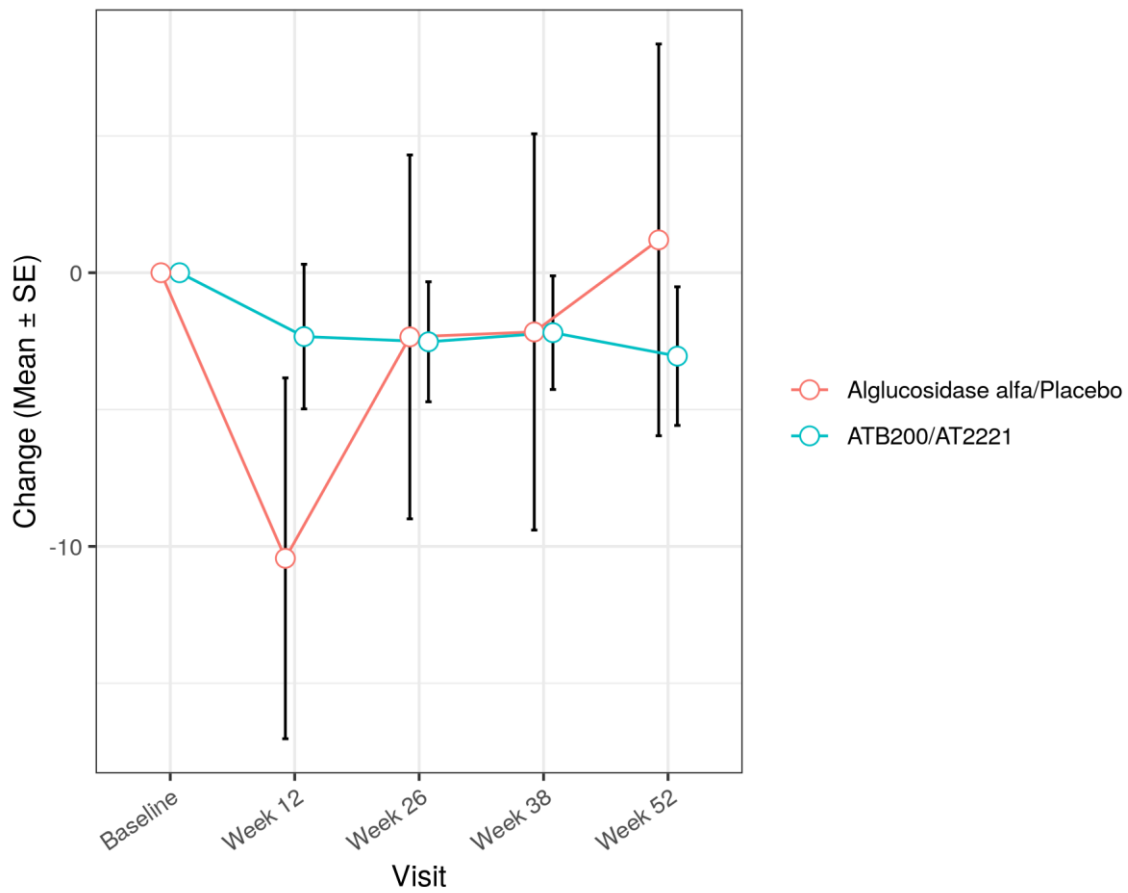
**35.7.1.09.01.1. Veränderung des EQ-VAS-Wertes Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 03\_1**

35.7.1.09.01 03\_1



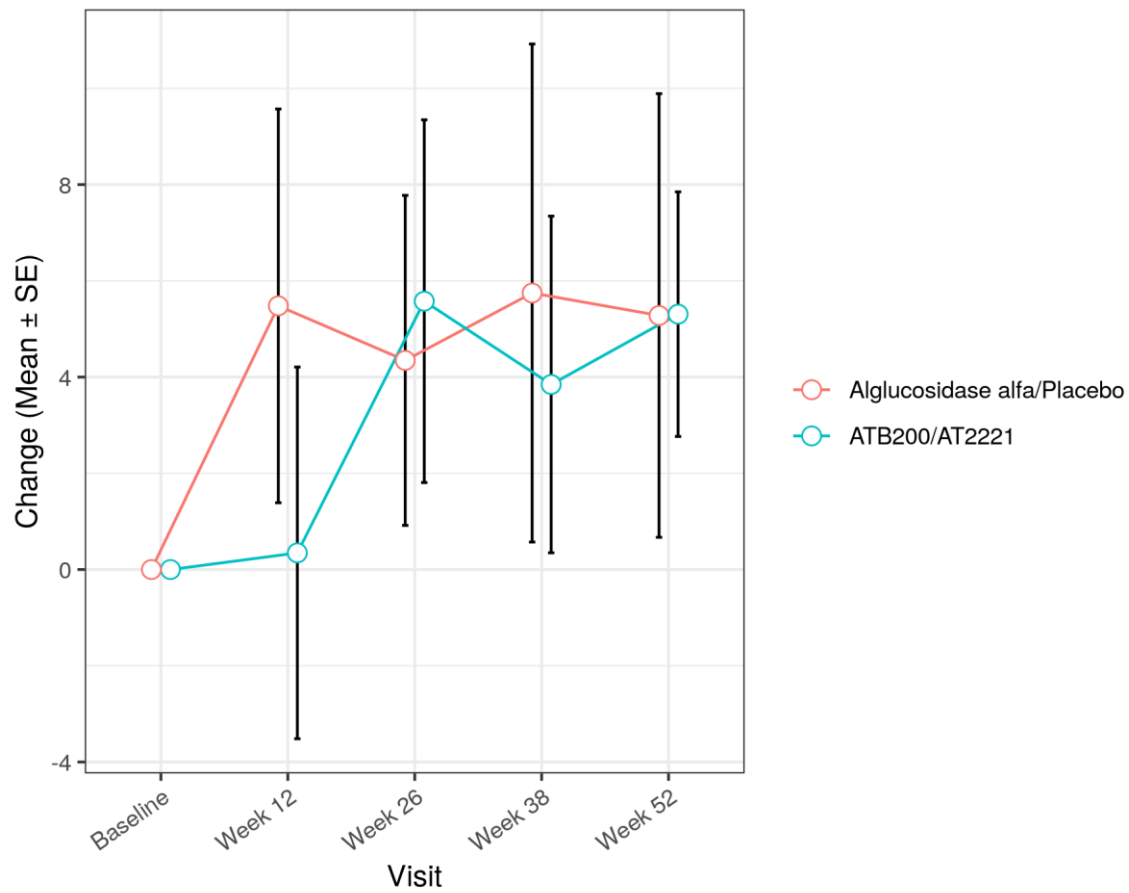
**35.7.1.09.01.1. Veränderung des EQ-VAS-Wertes Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 03\_2**

35.7.1.09.01 03\_2



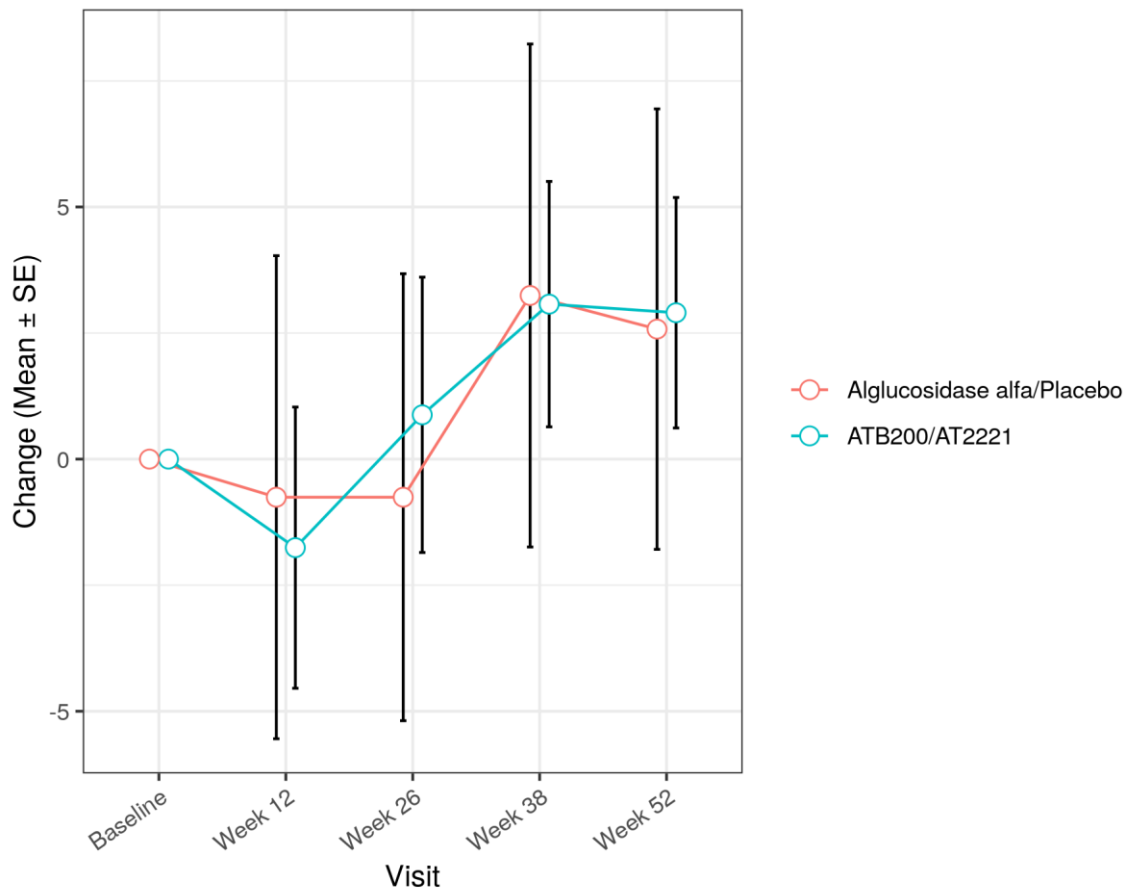
### 35.7.1.09.01.1. Veränderung des EQ-VAS-Wertes Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 03\_3

35.7.1.09.01 03\_3



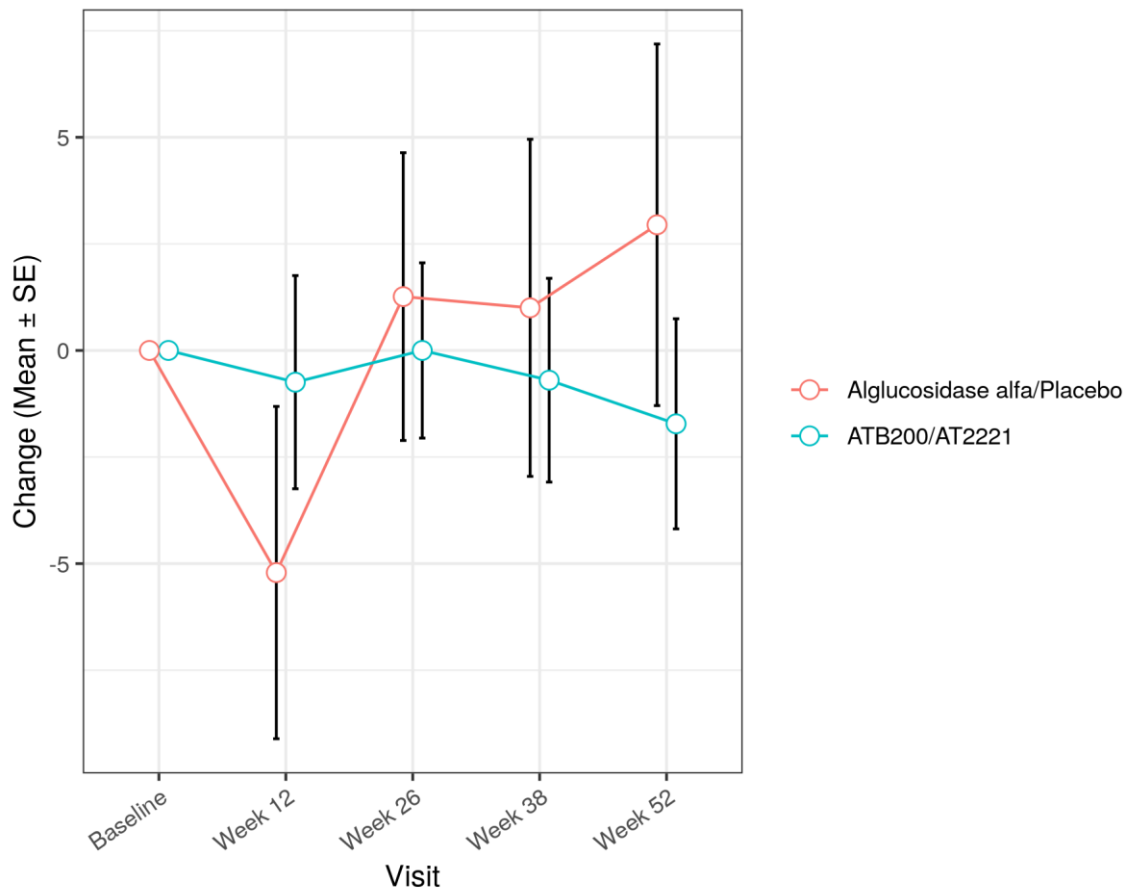
**35.7.1.09.01.1. Veränderung des EQ-VAS-Wertes Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 07\_1**

35.7.1.09.01 07\_1



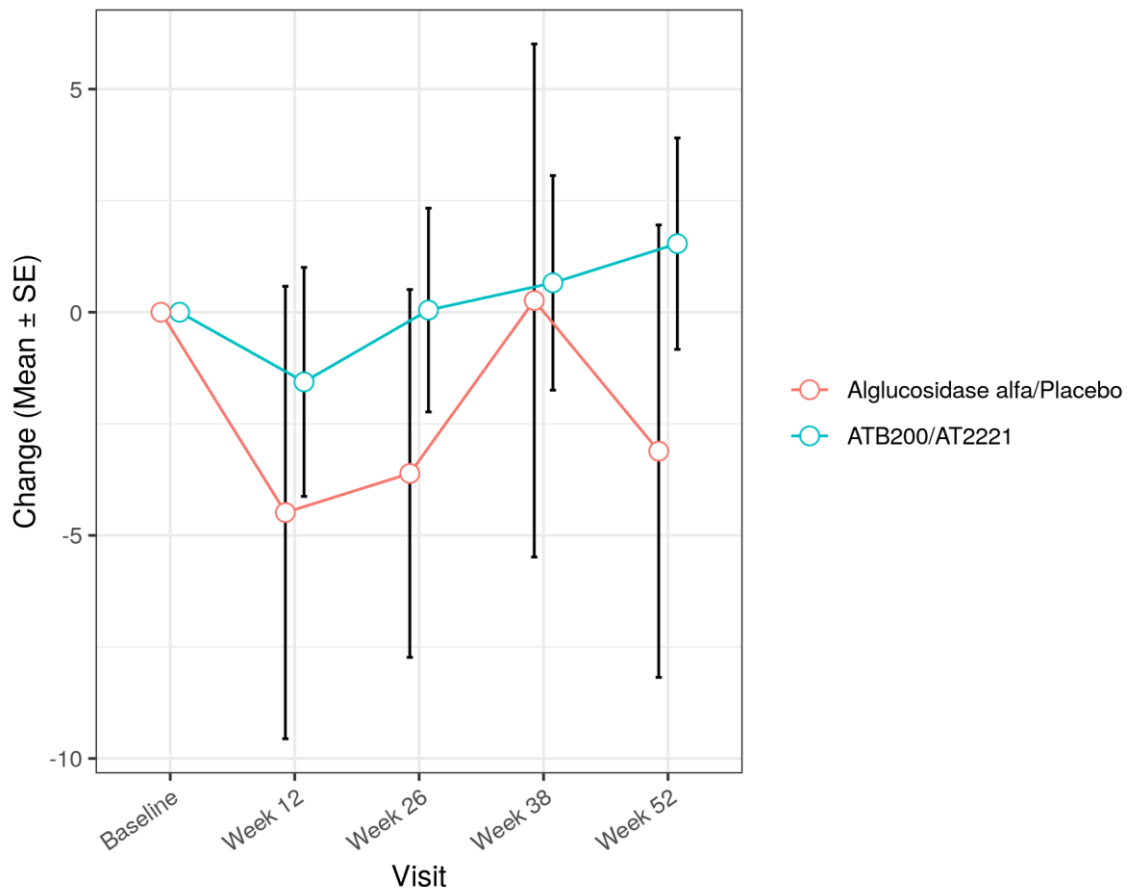
**35.7.1.09.01.1. Veränderung des EQ-VAS-Wertes Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 07\_2**

35.7.1.09.01 07\_2

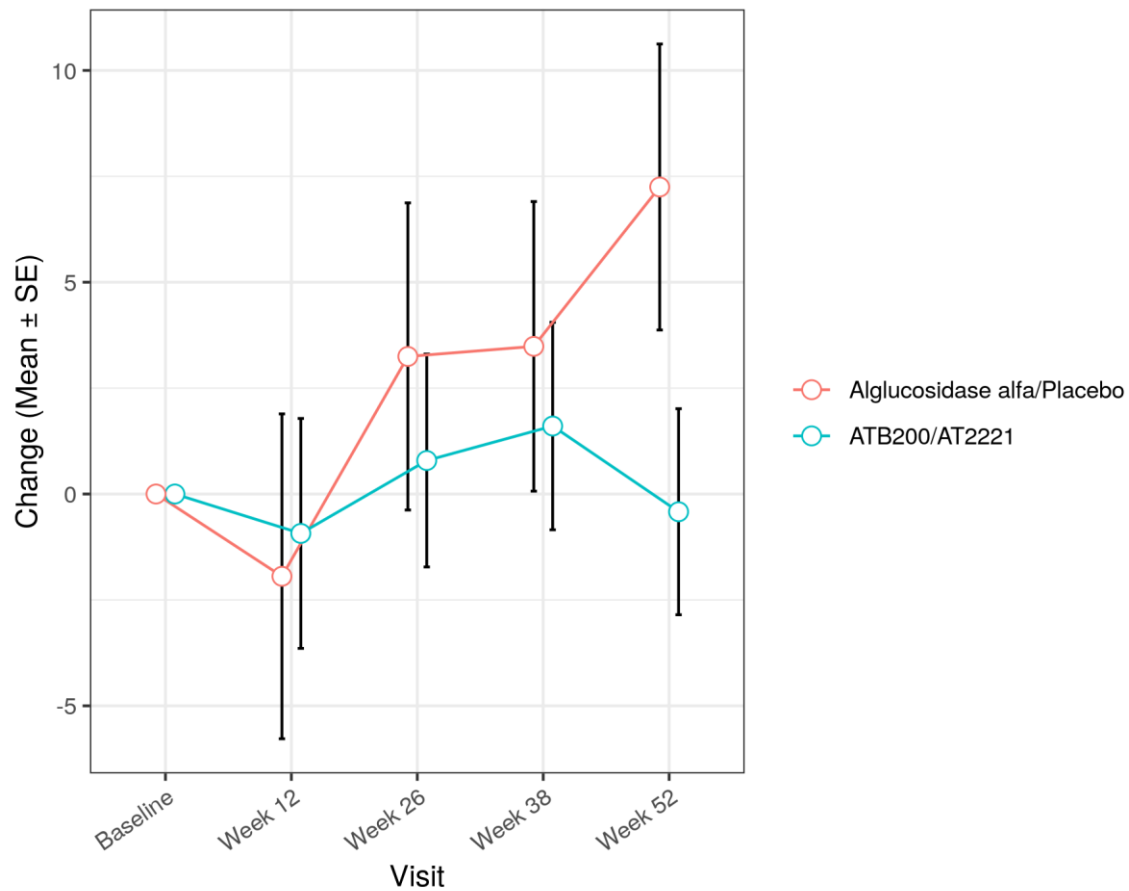


**35.7.1.09.01.1. Veränderung des EQ-VAS-Wertes Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 08\_1**

35.7.1.09.01 08\_1





**35.7.1.09.01.1. Veränderung des EQ-VAS-Wertes Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 08\_2****35.7.1.09.01 08\_2**

**35.7.1.09.02.2. Verbesserung um 15 Punkte im EQ-5D-VAS gegenüber Baseline MID = 15 %****35.7.1.09.02.2. Verbesserung um 15 Punkte im EQ-5D-VAS gegenüber Baseline MID = 15 %: Interaktionstest**

<b>Verbesserung um 15 Punkte im EQ-5D-VAS gegenüber Baseline MID = 15 %: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,9913
02	0,5259
03	0,6057
04	0,7060
05	0,4177
06	0,9199
07	0,8591
08	0,3265
09	0,8535
10	0,9610

<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.

**35.7.1.09.02.2. Verbesserung um 15 Punkte im EQ-5D-VAS gegenüber Baseline MID = 15 %: Subgruppenanalyse**

<b>Verbesserung um 15 Punkte im EQ-5D-VAS gegenüber Baseline MID = 15 %</b>			
		<b>Cipaglusidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>01</b>			
1	N	36	20
	Ereignisse, n (%)	7 (19)	6 (30)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,84 [0,308; 2,289] p = 0,7322	
2	N	49	18
	Ereignisse, n (%)	16 (33)	9 (50)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,61 [0,320; 1,157] p = 0,1301	
<b>02</b>			
<b>03</b>			
1	N	16	11
	Ereignisse, n (%)	4 (25)	3 (27)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,04 [0,266; 4,036] p = 0,9597	
2	N	43	12
	Ereignisse, n (%)	8 (19)	5 (42)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,48 [0,179; 1,282] p = 0,1429	
3	N	26	15
	Ereignisse, n (%)	11 (42)	7 (47)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,88 [0,496; 1,546] p = 0,6476	
<b>04</b>			
<b>05</b>			
<b>06</b>			
<b>07</b>			
1	N	42	19
	Ereignisse, n (%)	13 (31)	9 (47)

<b>Verbesserung um 15 Punkte im EQ-5D-VAS gegenüber Baseline MID = 15 %</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,70 [0,380; 1,298] p = 0,2594	
2	N	43	19
	Ereignisse, n (%)	10 (23)	6 (32)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,77 [0,343; 1,721] p = 0,5214	
<b>08</b>			
1	N	42	17
	Ereignisse, n (%)	14 (33)	6 (35)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,78 [0,357; 1,690] p = 0,5240	
2	N	43	21
	Ereignisse, n (%)	9 (21)	9 (43)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,56 [0,260; 1,225] p = 0,1481	
<b>09</b>			
<b>10</b>			
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach den zwei Faktoren „Baseline 6MWD“ und „ERT Status“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>			

**35.7.1.09.03.2. Verschlechterung um 15 Punkte im EQ-5D-VAS gegenüber Baseline MID = 15 %****35.7.1.09.03.2. Verschlechterung um 15 Punkte im EQ-5D-VAS gegenüber Baseline MID = 15 %: Interaktionstest**

<b>Verschlechterung um 15 Punkte im EQ-5D-VAS gegenüber Baseline MID = 15 %: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,6928
02	0,3207
03	0,6872
04	0,3425
05	0,4770
06	0,6000
07	0,7597
08	0,7084
09	0,6604
10	0,3177

<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.

**35.7.1.09.03.2. Verschlechterung um 15 Punkte im EQ-5D-VAS gegenüber Baseline MID = 15 %: Subgruppenanalyse**

<b>Verschlechterung um 15 Punkte im EQ-5D-VAS gegenüber Baseline MID = 15 %</b>			
		<b>Cipaglusidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>01</b>			
1	N	36	20
	Ereignisse, n (%)	11 (31)	5 (25)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,28 [0,568; 2,879] p = 0,5531	
2	N	49	18
	Ereignisse, n (%)	15 (31)	6 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,91 [0,451; 1,838] p = 0,7934	
<b>02</b>			
<b>03</b>			
1	N	16	11
	Ereignisse, n (%)	3 (19)	3 (27)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,67 [0,180; 2,471] p = 0,5441	
2	N	43	12
	Ereignisse, n (%)	15 (35)	5 (42)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,84 [0,409; 1,730] p = 0,6384	
3	N	26	15
	Ereignisse, n (%)	8 (31)	3 (20)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,55 [0,500; 4,777] p = 0,4496	
<b>04</b>			
<b>05</b>			
<b>06</b>			
<b>07</b>			
1	N	42	19
	Ereignisse, n (%)	15 (36)	7 (37)

<b>Verschlechterung um 15 Punkte im EQ-5D-VAS gegenüber Baseline MID = 15 %</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,03 [0,538; 1,970] p = 0,9292	
2	N	43	19
	Ereignisse, n (%)	11 (26)	4 (21)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,22 [0,448; 3,345] p = 0,6929	
<b>08</b>			
1	N	42	17
	Ereignisse, n (%)	16 (38)	7 (41)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,02 [0,528; 1,960] p = 0,9582	
2	N	43	21
	Ereignisse, n (%)	10 (23)	4 (19)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,09 [0,323; 3,694] p = 0,8876	
<b>09</b>			
<b>10</b>			
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach den zwei Faktoren „Baseline 6MWD“ und „ERT Status“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>			

**Subject's Global Impression of Change (SGIC)****35.7.1.10****35.7.1.10.01.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Allgemeines körperliches Wohlbefinden****35.7.1.10.01.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Allgemeines körperliches Wohlbefinden: Analyse**

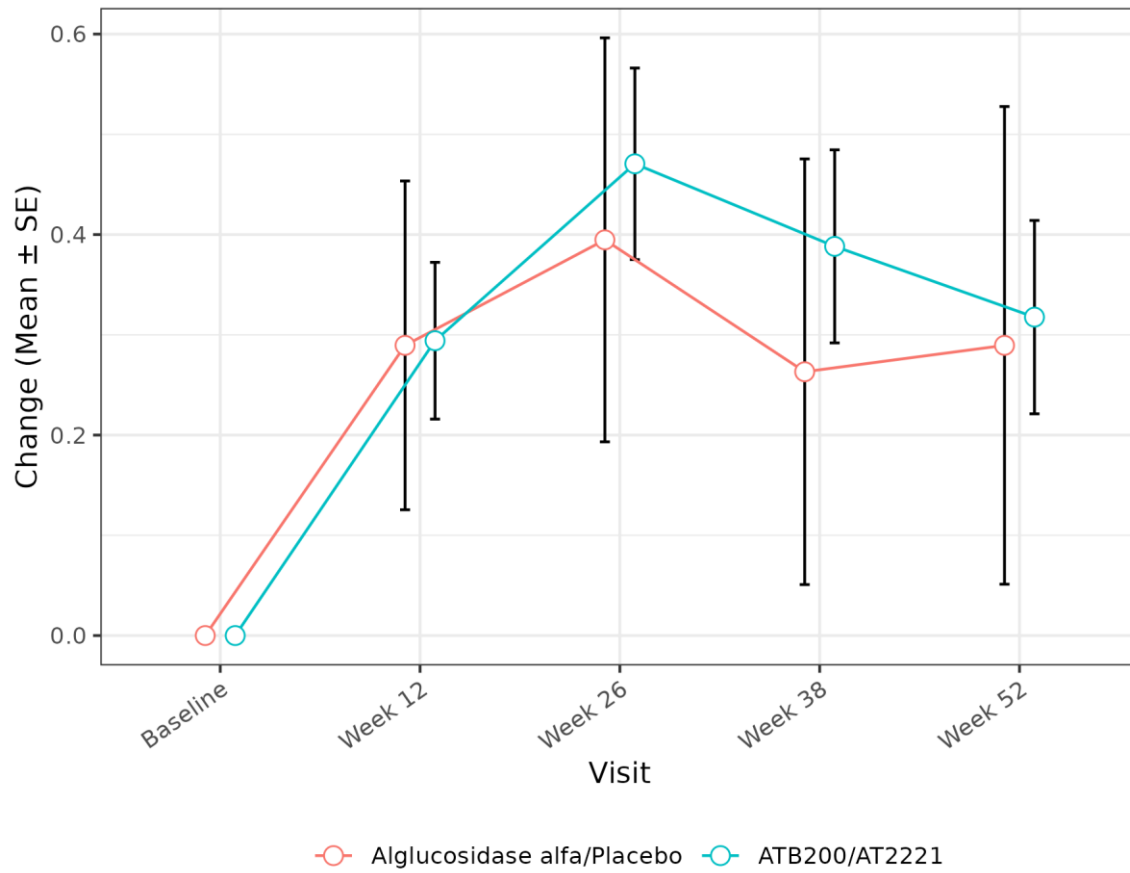
PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Algluco- sidade alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>Veränderung des SGIC-Wertes - Allgemeines körperliches Wohlbefinden</b>			
<b>Änderung zu Woche 12</b>			
n/N (%)	85/85 (100)	38/38 (100)	Hedges' g 0,01 [-0,377; 0,388] 0,9770
MW (SD)	0,29 (0,721)	0,29 (1,011)	
LS MW (SE)	0,30 (0,091)	0,27 (0,137)	LS MD 0,03 [-0,298; 0,363] 0,8466
95 %-KI	0,123; 0,482	-0,002; 0,542	
<b>Änderung zu Woche 26</b>			
n/N (%)	85/85 (100)	38/38 (100)	Hedges' g 0,07 [-0,308; 0,458] 0,7008
MW (SD)	0,47 (0,881)	0,39 (1,242)	
LS MW (SE)	0,48 (0,110)	0,38 (0,167)	LS MD 0,10 [-0,303; 0,498] 0,6310
95 %-KI	0,260; 0,695	0,050; 0,710	
<b>Änderung zu Woche 38</b>			
n/N (%)	85/85 (100)	38/38 (100)	Hedges' g 0,12 [-0,263; 0,503] 0,5385
MW (SD)	0,39 (0,888)	0,26 (1,309)	
LS MW (SE)	0,39 (0,111)	0,27 (0,168)	LS MD 0,12 [-0,283; 0,524] 0,5541
95 %-KI	0,168; 0,606	-0,066; 0,598	



PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>Änderung zu Woche 52</b>			
n/N (%)	85/85 (100)	38/38 (100)	Hedges' g 0,03 [-0,357; 0,408] 0,8962
MW (SD)	0,32 (0,889)	0,29 (1,469)	
LS MW (SE)	0,31 (0,118)	0,31 (0,178)	LS MD -0,00 [-0,434; 0,425] 0,9828
95 %-KI	0,074; 0,541	-0,041; 0,666	
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

### 35.7.1.10.01.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Allgemeines körperliches Wohlbefinden Mittelwertveränderungsplot

#### 35.7.1.10.01



### 35.7.1.10.01.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Allgemeines körperliches Wohlbefinden: Interaktionstest

Veränderung des SGIC-Wertes - Allgemeines körperliches Wohlbefinden: Interaktionstest der Subgruppen	
Subgruppe	Interaktionstest
01	0,6006
02	0,2201
03	0,1856
04	0,0026
05	0,0894
06	0,0715
07	0,9495
08	0,0169
09	0,1415
10	0,0394

Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.

In dem Interaktionstest bei Subgruppe 09 ERT-Dauer wird die Variable ERT-Status aus dem Model entfernt, da es keine Dauer der ERT Behandlung für ERT naive Patienten gibt

### 35.7.1.10.01.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Allgemeines körperliches Wohlbefinden: Subgruppenanalyse

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
<b>Veränderung des SGIC-Wertes - Allgemeines körperliches Wohlbefinden</b>			
Änderung zu Woche 12			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	36/36 (100)	20/20 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,28 (0,741)	0,20 (0,768)	0,10 [-0,445; 0,649]
LS MW (SE)	0,32 (0,121)	0,13 (0,164)	LS MD
95 %-KI	0,077; 0,562	-0,205; 0,455	0,19 [-0,225; 0,614] 0,3566
2			
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,31 (0,713)	0,39 (1,243)	-0,09 [-0,633; 0,448]
LS MW (SE)	0,33 (0,128)	0,34 (0,215)	LS MD
95 %-KI	0,071; 0,581	-0,095; 0,765	-0,01 [-0,519; 0,500] 0,9716
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,38 (0,806)	0,00 (1,183)	0,37 [-0,402; 1,148]
LS MW (SE)	0,29 (0,265)	0,12 (0,327)	LS MD
95 %-KI	-0,258; 0,848	-0,565; 0,799	0,18 [-0,751; 1,107] 0,6937

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipaglusosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,21 (0,638)	0,00 (0,426)	0,34 [-0,300; 0,987]
LS MW (SE)	0,21 (0,094)	0,00 (0,180)	LS MD
95 %-KI	0,019; 0,399	-0,360; 0,362	0,21 [-0,201; 0,617] 0,3113
3			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,38 (0,804)	0,73 (1,100)	-0,37 [-1,012; 0,270]
LS MW (SE)	0,42 (0,187)	0,68 (0,250)	LS MD
95 %-KI	0,039; 0,798	0,167; 1,184	-0,26 [-0,911; 0,397] 0,4299
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,29 (0,636)	0,42 (1,216)	-0,16 [-0,699; 0,387]
LS MW (SE)	0,30 (0,136)	0,38 (0,207)	LS MD
95 %-KI	0,031; 0,577	-0,034; 0,795	-0,08 [-0,586; 0,433] 0,7646
2			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,30 (0,803)	0,16 (0,765)	0,18 [-0,361; 0,721]
LS MW (SE)	0,31 (0,124)	0,14 (0,189)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
95 %-KI	0,062; 0,561	-0,241; 0,515	0,17 [-0,282; 0,631] 0,4471
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,36 (0,656)	0,24 (0,970)	0,16 [-0,405; 0,723]
LS MW (SE)	0,35 (0,121)	0,25 (0,192)	LS MD
95 %-KI	0,107; 0,593	-0,133; 0,639	0,10 [-0,363; 0,558] 0,6738
2			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,23 (0,782)	0,33 (1,065)	-0,11 [-0,635; 0,409]
LS MW (SE)	0,26 (0,140)	0,28 (0,204)	LS MD
95 %-KI	-0,021; 0,540	-0,130; 0,686	-0,02 [-0,525; 0,488] 0,9422
Änderung zu Woche 26			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	36/36 (100)	20/20 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,39 (0,688)	0,40 (0,995)	-0,01 [-0,560; 0,533]
LS MW (SE)	0,43 (0,130)	0,32 (0,177)	LS MD
95 %-KI	0,173; 0,695	-0,037; 0,674	0,12 [-0,336; 0,568] 0,6084
2			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,53 (1,002)	0,39 (1,501)	0,12 [-0,419; 0,662]
LS MW (SE)	0,52 (0,170)	0,41 (0,288)	LS MD
95 %-KI	0,183; 0,865	-0,168; 0,983	0,12 [-0,565; 0,797] 0,7345
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,50 (0,816)	0,09 (1,375)	0,37 [-0,406; 1,144]
LS MW (SE)	0,50 (0,312)	0,08 (0,385)	LS MD
95 %-KI	-0,147; 1,156	-0,719; 0,888	0,42 [-0,674; 1,514] 0,4328
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,33 (0,808)	0,25 (0,866)	0,09 [-0,549; 0,731]
LS MW (SE)	0,33 (0,127)	0,24 (0,242)	LS MD
95 %-KI	0,072; 0,584	-0,246; 0,729	0,09 [-0,466; 0,638] 0,7544
3			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,69 (1,011)	0,73 (1,387)	-0,03 [-0,670; 0,601]
LS MW (SE)	0,67 (0,237)	0,77 (0,318)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
95 %-KI	0,186; 1,151	0,128; 1,421	-0,11 [-0,937; 0,725] 0,7978
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,50 (0,862)	0,32 (1,416)	0,17 [-0,372; 0,714]
LS MW (SE)	0,53 (0,164)	0,25 (0,249)	LS MD
95 %-KI	0,199; 0,857	-0,247; 0,754	0,27 [-0,339; 0,888] 0,3737
2			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,44 (0,908)	0,47 (1,073)	-0,03 [-0,573; 0,507]
LS MW (SE)	0,44 (0,151)	0,47 (0,229)	LS MD
95 %-KI	0,141; 0,747	0,009; 0,928	-0,02 [-0,580; 0,531] 0,9305
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,64 (0,932)	0,29 (1,359)	0,32 [-0,245; 0,888]
LS MW (SE)	0,61 (0,160)	0,37 (0,255)	LS MD
95 %-KI	0,291; 0,935	-0,144; 0,879	0,25 [-0,364; 0,857] 0,4222
2			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	Hedges' g



PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
MW (SD)	0,30 (0,803)	0,48 (1,167)	-0,18 [-0,706; 0,339]
LS MW (SE)	0,34 (0,141)	0,39 (0,206)	LS MD
95 %-KI	0,062; 0,627	-0,022; 0,802	-0,04 [-0,556; 0,466] 0,8611
Änderung zu Woche 38			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	36/36 (100)	20/20 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,11 (0,854)	0,20 (1,105)	-0,09 [-0,639; 0,455]
LS MW (SE)	0,15 (0,156)	0,13 (0,212)	LS MD
95 %-KI	-0,161; 0,465	-0,299; 0,553	0,02 [-0,517; 0,567] 0,9272
2			
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,59 (0,864)	0,33 (1,534)	0,24 [-0,305; 0,778]
LS MW (SE)	0,59 (0,159)	0,33 (0,269)	LS MD
95 %-KI	0,274; 0,912	-0,209; 0,867	0,26 [-0,373; 0,901] 0,4106
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,50 (0,966)	0,18 (1,471)	0,26 [-0,513; 1,030]
LS MW (SE)	0,44 (0,339)	0,27 (0,419)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
95 %-KI	-0,270; 1,145	-0,601; 1,146	0,16 [-1,025; 1,354] 0,7759
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,28 (0,854)	-0,17 (0,835)	0,52 [-0,131; 1,164]
LS MW (SE)	0,29 (0,119)	-0,20 (0,227)	LS MD
95 %-KI	0,049; 0,529	-0,660; 0,254	0,49 [-0,025; 1,011] 0,0619
3			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,50 (0,906)	0,67 (1,447)	-0,14 [-0,781; 0,492]
LS MW (SE)	0,49 (0,230)	0,68 (0,308)	LS MD
95 %-KI	0,024; 0,959	0,055; 1,309	-0,19 [-0,997; 0,615] 0,6333
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,45 (0,916)	0,21 (1,584)	0,21 [-0,338; 0,749]
LS MW (SE)	0,46 (0,175)	0,20 (0,266)	LS MD
95 %-KI	0,108; 0,809	-0,337; 0,729	0,26 [-0,391; 0,916] 0,4242
2			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	Hedges' g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
MW (SD)	0,33 (0,865)	0,32 (1,003)	0,01 [-0,529; 0,551]
LS MW (SE)	0,33 (0,141)	0,31 (0,214)	LS MD
95 %-KI	0,047; 0,612	-0,122; 0,735	0,02 [-0,495; 0,541] 0,9296
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,52 (0,917)	0,18 (1,425)	0,32 [-0,250; 0,883]
LS MW (SE)	0,50 (0,162)	0,23 (0,258)	LS MD
95 %-KI	0,176; 0,828	-0,288; 0,748	0,27 [-0,346; 0,891] 0,3807
2			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,26 (0,848)	0,33 (1,238)	-0,08 [-0,599; 0,445]
LS MW (SE)	0,27 (0,149)	0,30 (0,217)	LS MD
95 %-KI	-0,028; 0,569	-0,132; 0,738	-0,03 [-0,572; 0,507] 0,9049
Änderung zu Woche 52			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	36/36 (100)	20/20 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,17 (0,878)	0,20 (1,361)	-0,03 [-0,577; 0,516]
LS MW (SE)	0,22 (0,177)	0,10 (0,241)	LS MD

Medizinischer Nutzen, medizinischer Zusatznutzen, Patientengruppen mit therap. bedeutsamem Zusatznutzen

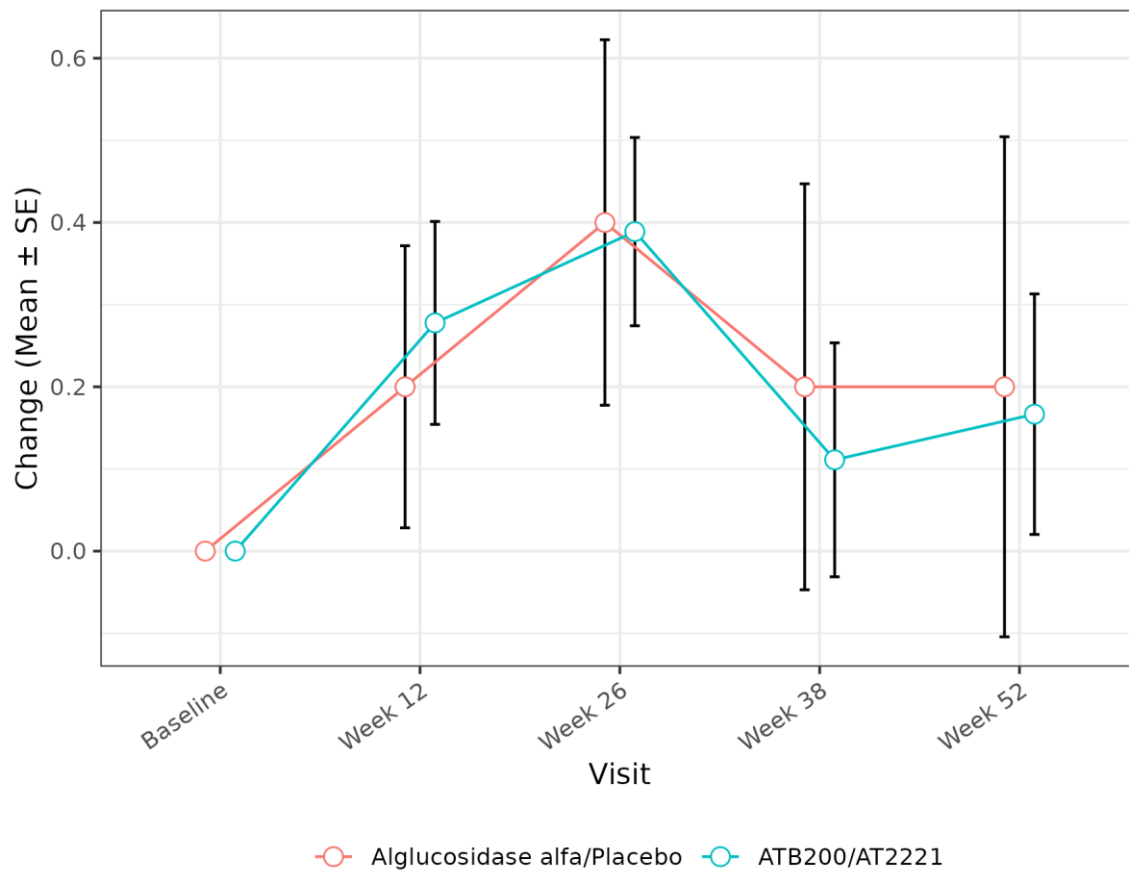
PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
95 %-KI	-0,135; 0,576	-0,381; 0,587	0,12 [-0,498; 0,733] 0,7029
2			
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,43 (0,890)	0,39 (1,614)	0,03 [-0,505; 0,575]
LS MW (SE)	0,38 (0,163)	0,51 (0,274)	LS MD
95 %-KI	0,060; 0,710	-0,040; 1,057	-0,12 [-0,773; 0,526] 0,7042
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,19 (0,911)	0,27 (1,348)	-0,07 [-0,843; 0,693]
LS MW (SE)	0,10 (0,316)	0,40 (0,389)	LS MD
95 %-KI	-0,561; 0,756	-0,409; 1,216	-0,31 [-1,412; 0,800] 0,5698
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,23 (0,972)	0,08 (1,311)	0,14 [-0,501; 0,780]
LS MW (SE)	0,23 (0,153)	0,08 (0,291)	LS MD
95 %-KI	-0,073; 0,542	-0,510; 0,662	0,16 [-0,505; 0,822] 0,6333
3			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges' g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
MW (SD)	0,54 (0,706)	0,47 (1,727)	0,06 [-0,576; 0,695]
LS MW (SE)	0,54 (0,240)	0,47 (0,321)	LS MD
95 %-KI	0,049; 1,023	-0,182; 1,123	0,07 [-0,773; 0,905] 0,8743
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,38 (0,909)	0,26 (1,593)	0,10 [-0,442; 0,642]
LS MW (SE)	0,39 (0,166)	0,24 (0,253)	LS MD
95 %-KI	0,057; 0,724	-0,264; 0,749	0,15 [-0,473; 0,770] 0,6344
2			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,26 (0,875)	0,32 (1,376)	-0,06 [-0,596; 0,484]
LS MW (SE)	0,25 (0,160)	0,33 (0,242)	LS MD
95 %-KI	-0,069; 0,571	-0,158; 0,812	-0,08 [-0,662; 0,510] 0,7965
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,45 (0,832)	0,00 (1,500)	0,42 [-0,149; 0,989]
LS MW (SE)	0,42 (0,159)	0,08 (0,253)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
95 %-KI	0,103; 0,740	-0,431; 0,583	0,35 [-0,260; 0,950] 0,2576
2			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,19 (0,932)	0,52 (1,436)	-0,30 [-0,822; 0,227]
LS MW (SE)	0,17 (0,167)	0,55 (0,243)	LS MD
95 %-KI	-0,159; 0,509	0,061; 1,034	-0,37 [-0,976; 0,231] 0,2214
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

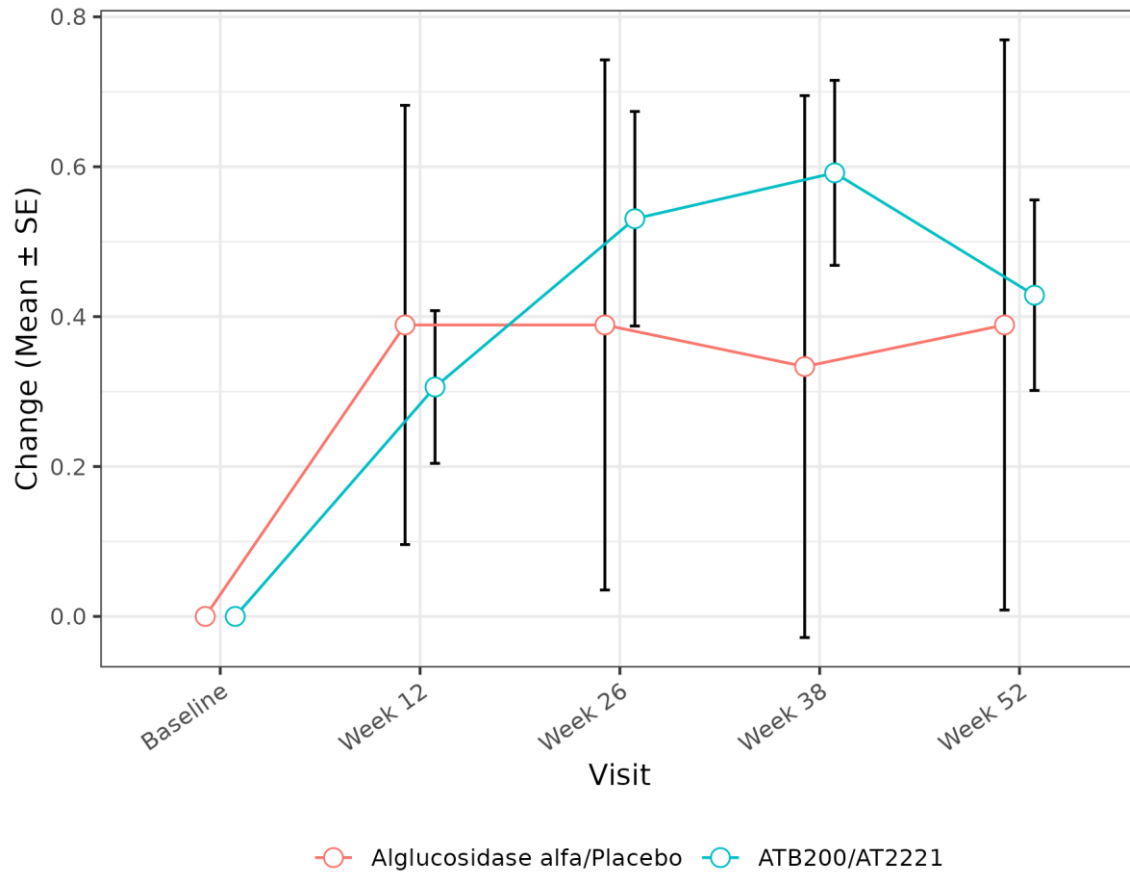
**35.7.1.10.01.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Allgemeines körperliches Wohlbefinden: Mittelwertveränderungsplots der Subgruppen****35.7.1.10.01.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Allgemeines körperliches Wohlbefinden Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 01\_1**

35.7.1.10.01 01\_1



**35.7.1.10.01.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Allgemeines körperliches Wohlbefinden  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 01\_2**

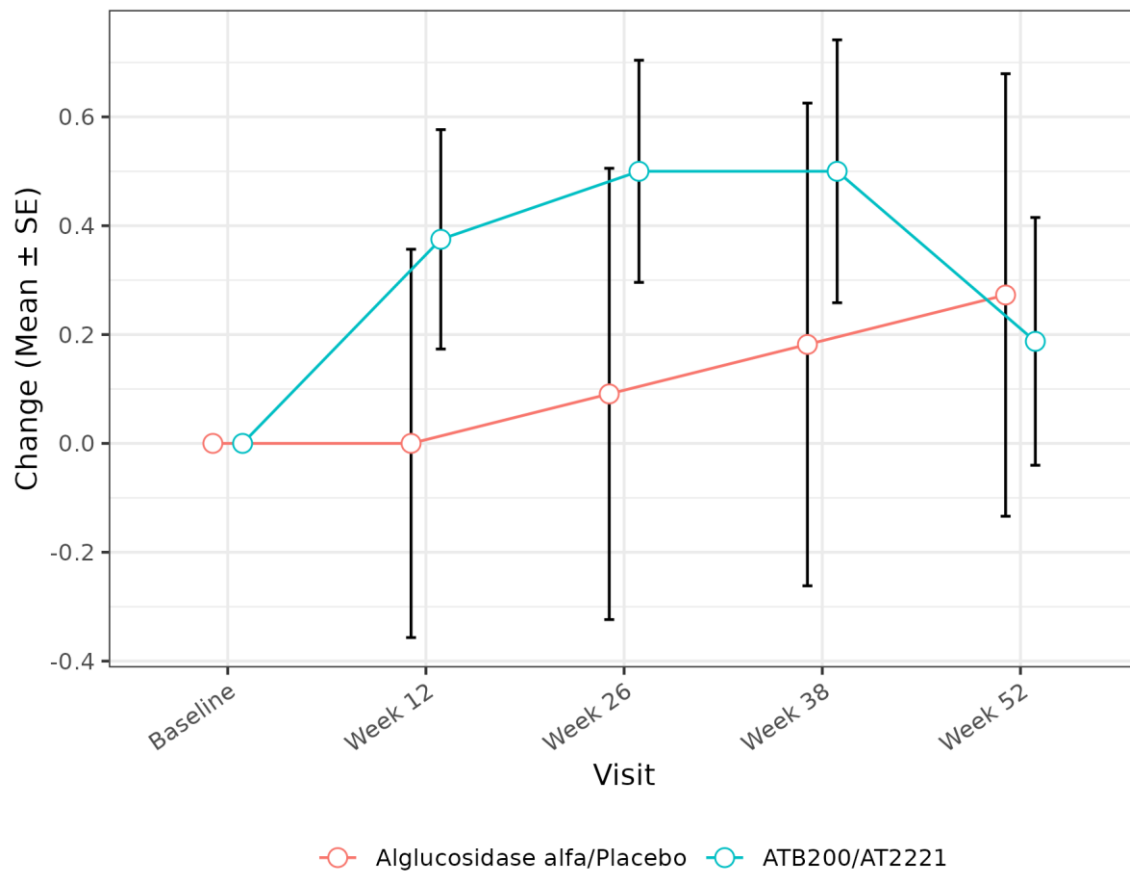
35.7.1.10.01 01\_2

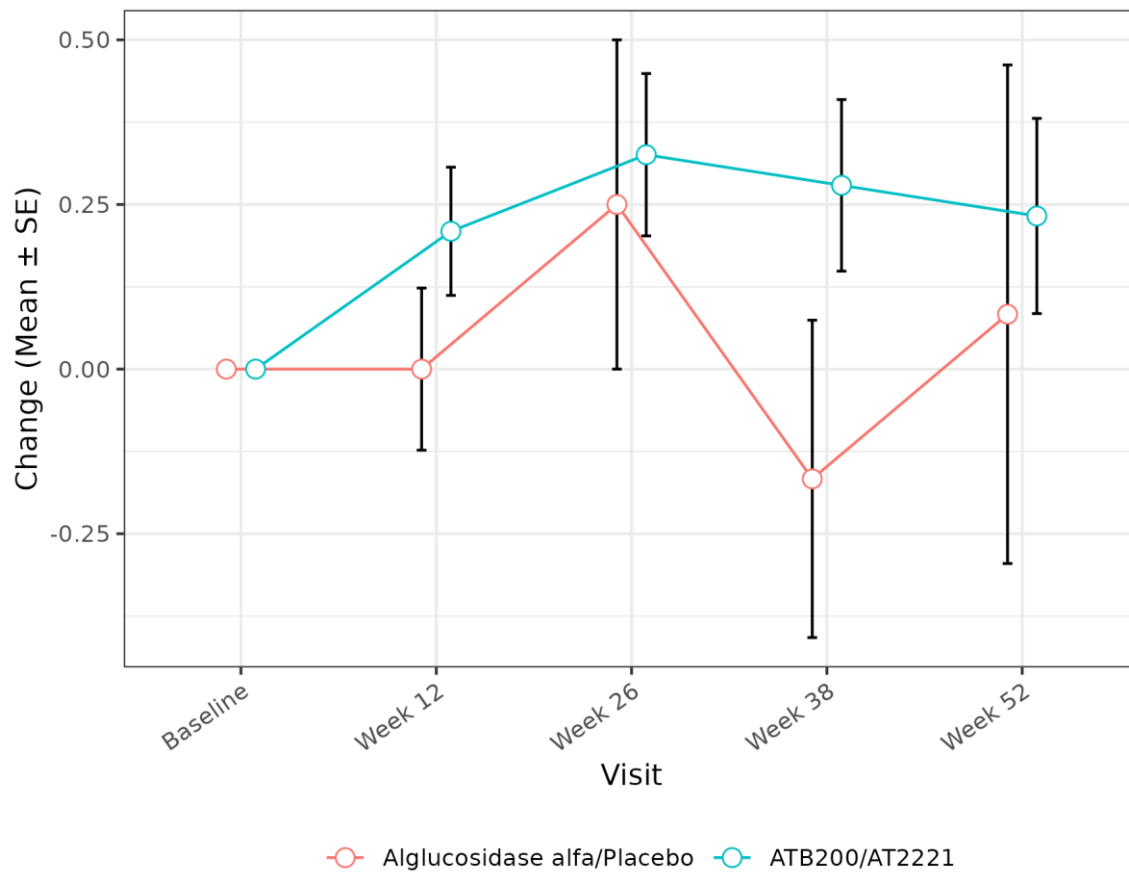


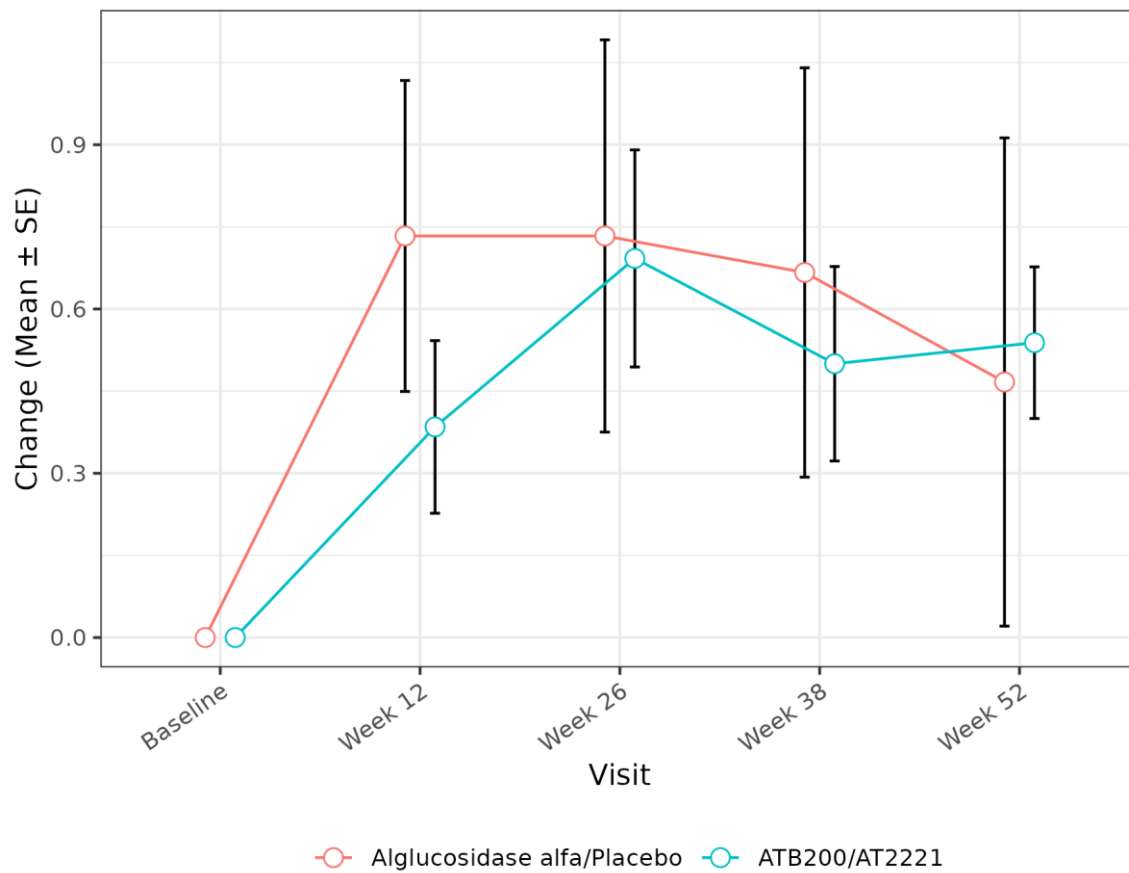


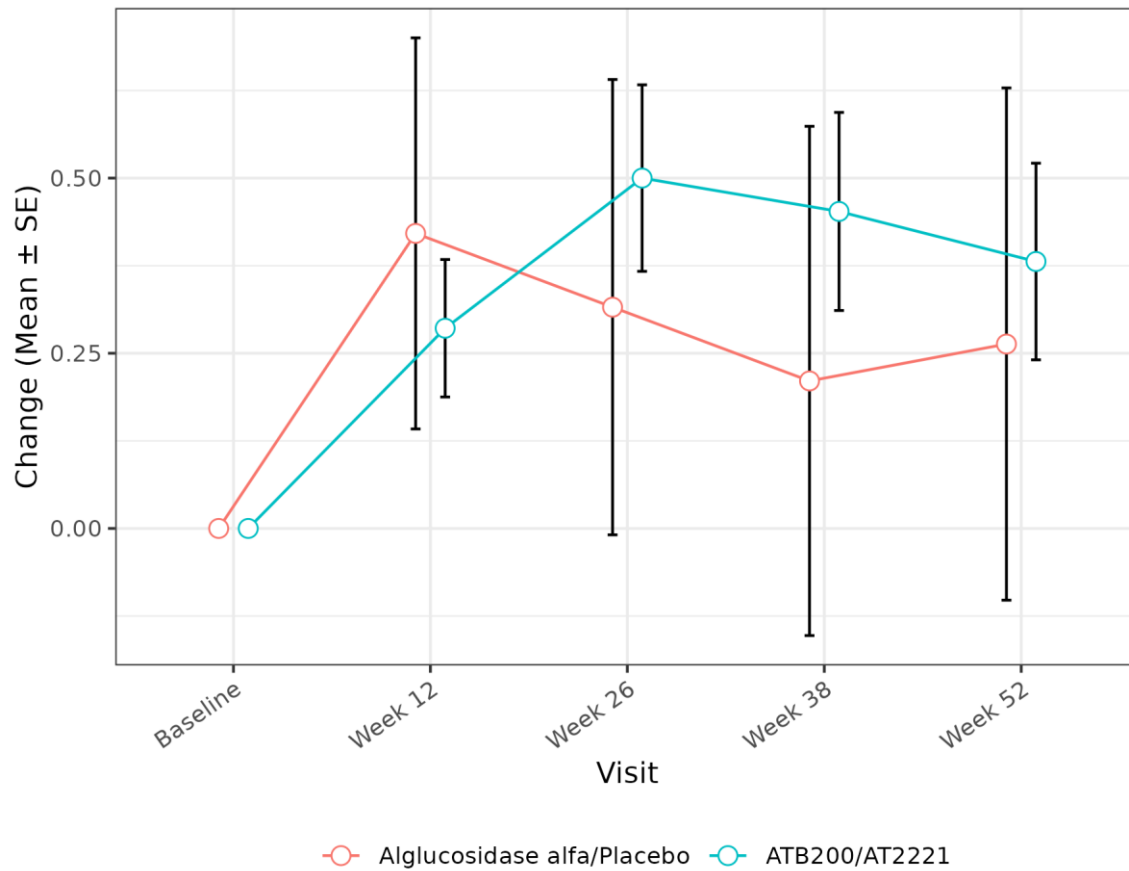
**35.7.1.10.01.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Allgemeines körperliches Wohlbefinden  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 03\_1**

35.7.1.10.01 03\_1



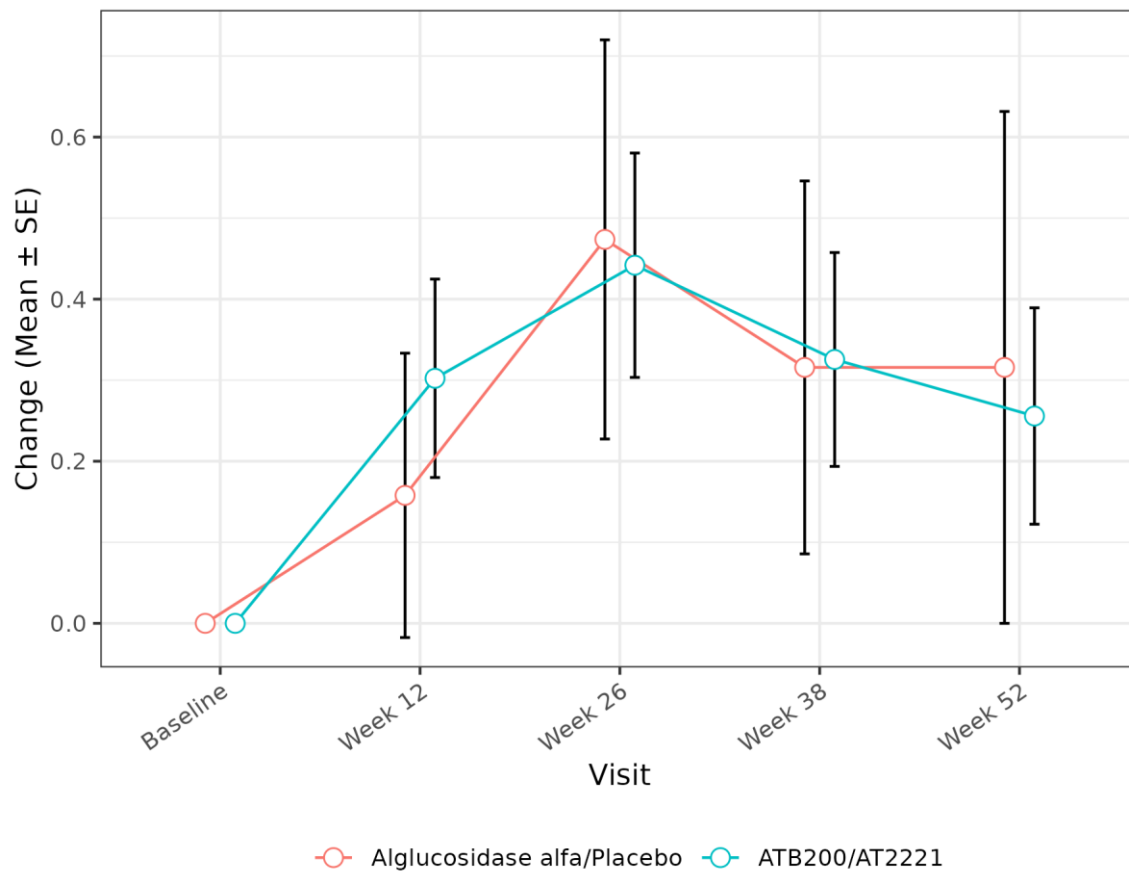
**35.7.1.10.01.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Allgemeines körperliches Wohlbefinden  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 03\_2****35.7.1.10.01 03\_2**

**35.7.1.10.01.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Allgemeines körperliches Wohlbefinden  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 03\_3****35.7.1.10.01 03\_3**

**35.7.1.10.01.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Allgemeines körperliches Wohlbefinden  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 07\_1****35.7.1.10.01 07\_1**

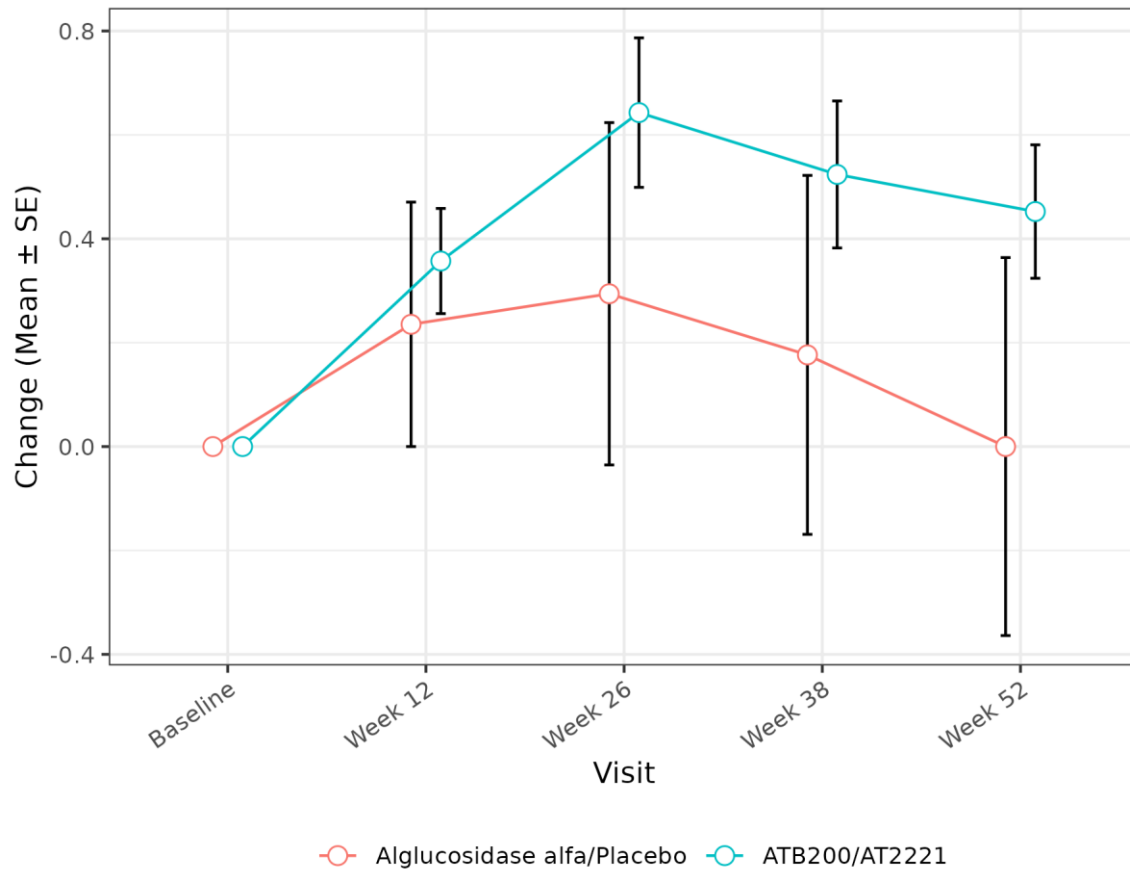
**35.7.1.10.01.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Allgemeines körperliches Wohlbefinden  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 07\_2**

## 35.7.1.10.01 07\_2



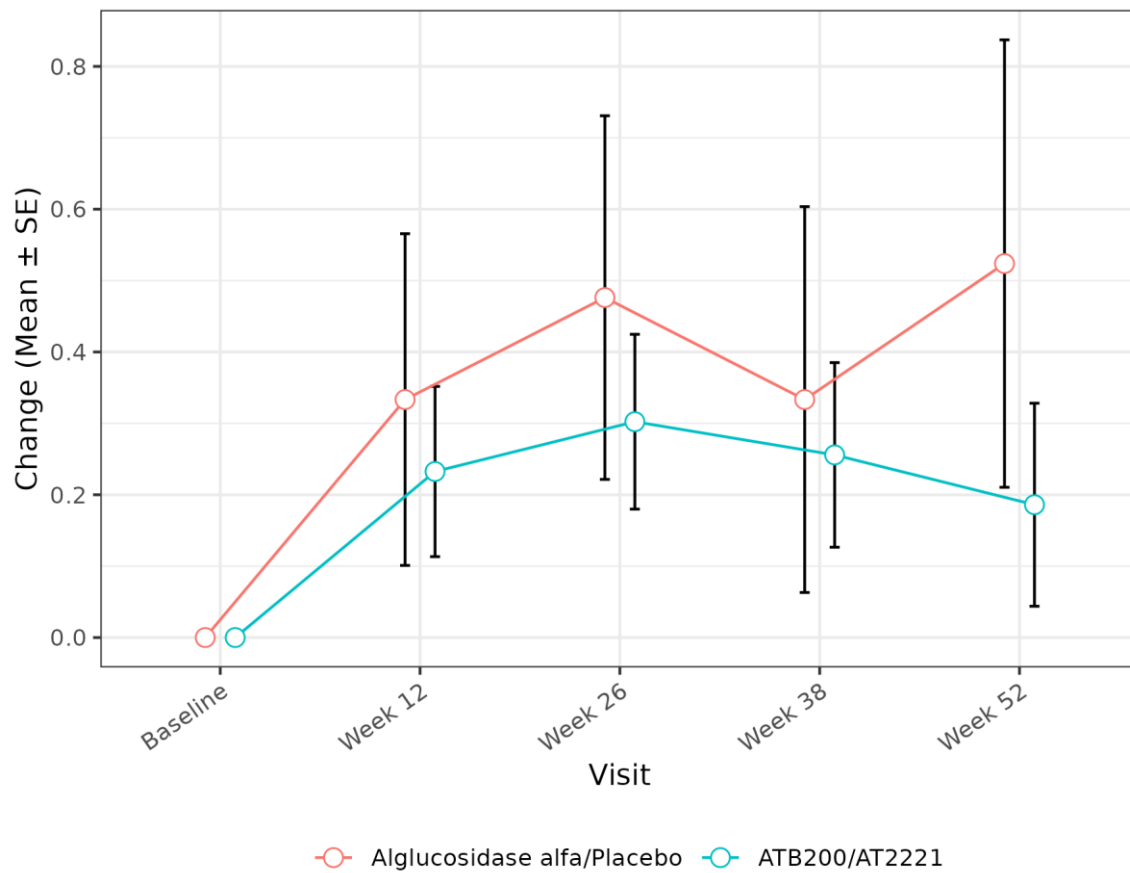
**35.7.1.10.01.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Allgemeines körperliches Wohlbefinden  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 08\_1**

35.7.1.10.01 08\_1



**35.7.1.10.01.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Allgemeines körperliches Wohlbefinden  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 08\_2**

35.7.1.10.01 08\_2



**35.7.1.10.02.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Atemanstrengung****35.7.1.10.02.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Atemanstrengung: Analyse**

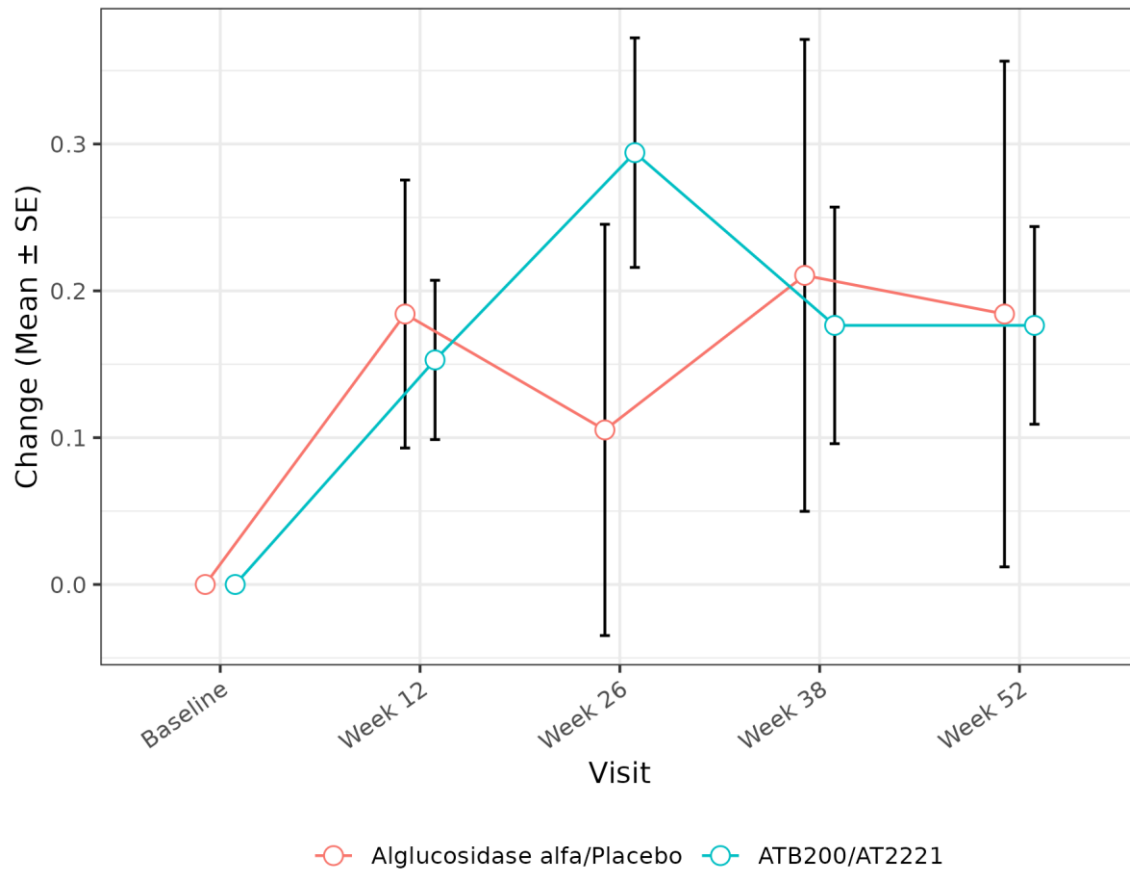
PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>Veränderung des SGIC-Wertes - Atemanstrengung</b>			
<b>Änderung zu Woche 12</b>			
n/N (%)	85/85 (100)	38/38 (100)	Hedges' g -0,06 [-0,442; 0,323] 0,7595
MW (SD)	0,15 (0,500)	0,18 (0,563)	
LS MW (SE)	0,16 (0,058)	0,18 (0,088)	LS MD -0,02 [-0,236; 0,187] 0,8212
95 %-KI	0,040; 0,270	0,005; 0,353	
<b>Änderung zu Woche 26</b>			
n/N (%)	85/85 (100)	38/38 (100)	Hedges' g 0,24 [-0,139; 0,628] 0,2115
MW (SD)	0,29 (0,721)	0,11 (0,863)	
LS MW (SE)	0,29 (0,084)	0,12 (0,128)	LS MD 0,17 [-0,135; 0,481] 0,2685
95 %-KI	0,122; 0,456	-0,137; 0,370	
<b>Änderung zu Woche 38</b>			
n/N (%)	85/85 (100)	38/38 (100)	Hedges' g -0,04 [-0,423; 0,342] 0,8338
MW (SD)	0,18 (0,743)	0,21 (0,991)	
LS MW (SE)	0,17 (0,090)	0,23 (0,137)	LS MD -0,06 [-0,386; 0,273] 0,7344
95 %-KI	-0,009; 0,348	-0,045; 0,497	
<b>Änderung zu Woche 52</b>			
n/N (%)	85/85 (100)	38/38 (100)	Hedges' g -0,01
MW (SD)	0,18 (0,621)	0,18 (1,062)	



<b>PROPEL ITT</b>	<b>Behandlungsarm</b>		<b>Effektmaß [95 %-KI] p-Wert</b>
	<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Algluco- sidade alfa/Placebo</b>	
<b>N</b>	<b>85</b>	<b>38</b>	-
			[-0,392; 0,373] 0,9598
<b>LS MW (SE)</b>	0,16 (0,085)	0,22 (0,129)	<b>LS MD</b> -0,06
<b>95 %-KI</b>	-0,008; 0,329	-0,036; 0,475	[-0,369; 0,252] 0,7085
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

**35.7.1.10.02.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Atemanstrengung  
Mittelwertveränderungsplot**

35.7.1.10.02



**35.7.1.10.02.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Atemanstrengung: Interaktionstest**

<b>Veränderung des SGIC-Wertes - Atemanstrengung: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	0,3301
02	< 0,0001
03	0,5371
04	0,0028
05	0,1235
06	0,5150
07	0,6396
08	0,0005
09	0,2621
10	0,0004
<p><i>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i></p> <p><i>In dem Interaktionstest bei Subgruppe 09 ERT-Dauer wird die Variable ERT-Status aus dem Model entfernt, da es keine Dauer der ERT Behandlung für ERT naive Patienten gibt</i></p>	

**35.7.1.10.02.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Atemanstrengung: Subgruppenanalyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
<b>Veränderung des SGIC-Wertes - Atemanstrengung</b>			
Änderung zu Woche 12			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	36/36 (100)	20/20 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,17 (0,609)	0,10 (0,447)	0,12 [-0,429; 0,665]
LS MW (SE)	0,16 (0,096)	0,11 (0,131)	LS MD
95 %-KI	-0,030; 0,356	-0,157; 0,370	0,06 [-0,278; 0,391] 0,7362
2			
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,14 (0,408)	0,28 (0,669)	-0,27 [-0,814; 0,270]
LS MW (SE)	0,15 (0,072)	0,26 (0,121)	LS MD
95 %-KI	0,006; 0,292	0,019; 0,502	-0,11 [-0,397; 0,174] 0,4389
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,12 (0,342)	0,09 (0,302)	0,10 [-0,667; 0,870]
LS MW (SE)	0,15 (0,078)	0,05 (0,096)	LS MD
95 %-KI	-0,012; 0,314	-0,147; 0,254	0,10 [-0,176; 0,371] 0,4650
2			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,14 (0,560)	0,00 (0,000)	NA [NA; NA]
LS MW (SE)	0,14 (0,078)	0,00 (0,148)	LS MD
95 %-KI	-0,017; 0,296	-0,296; 0,299	0,14 [-0,199; 0,475] 0,4142
<b>3</b>			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,19 (0,491)	0,40 (0,828)	-0,32 [-0,961; 0,318]
LS MW (SE)	0,18 (0,130)	0,42 (0,175)	LS MD
95 %-KI	-0,083; 0,448	0,062; 0,772	-0,23 [-0,691; 0,223] 0,3047
<b>07</b>			
<b>1</b>			
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,14 (0,354)	0,37 (0,684)	-0,46 [-1,013; 0,084]
LS MW (SE)	0,14 (0,077)	0,37 (0,117)	LS MD
95 %-KI	-0,013; 0,296	0,137; 0,606	-0,23 [-0,518; 0,057] 0,1144
<b>2</b>			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,16 (0,615)	0,00 (0,333)	0,29 [-0,248; 0,837]
LS MW (SE)	0,16 (0,085)	-0,00 (0,129)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
95 %-KI	-0,006; 0,334	-0,260; 0,255	0,17 [-0,145; 0,478] 0,2886
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,17 (0,437)	0,24 (0,664)	-0,13 [-0,696; 0,431]
LS MW (SE)	0,16 (0,081)	0,25 (0,129)	LS MD
95 %-KI	-0,002; 0,324	-0,011; 0,507	-0,09 [-0,396; 0,222] 0,5748
2			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,14 (0,560)	0,14 (0,478)	-0,01 [-0,528; 0,516]
LS MW (SE)	0,16 (0,083)	0,10 (0,121)	LS MD
95 %-KI	-0,006; 0,326	-0,141; 0,343	0,06 [-0,241; 0,359] 0,6938
Änderung zu Woche 26			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	36/36 (100)	20/20 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,25 (0,500)	0,05 (0,605)	0,37 [-0,185; 0,917]
LS MW (SE)	0,26 (0,089)	0,04 (0,121)	LS MD
95 %-KI	0,078; 0,436	-0,206; 0,282	0,22 [-0,091; 0,529] 0,1619
2			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,33 (0,851)	0,17 (1,098)	0,17 [-0,370; 0,712]
LS MW (SE)	0,29 (0,133)	0,26 (0,225)	LS MD
95 %-KI	0,025; 0,557	-0,187; 0,712	0,03 [-0,503; 0,561] 0,9142
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,12 (0,500)	-0,18 (0,874)	0,44 [-0,337; 1,219]
LS MW (SE)	0,13 (0,187)	-0,18 (0,231)	LS MD
95 %-KI	-0,264; 0,517	-0,665; 0,298	0,31 [-0,346; 0,966] 0,3358
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,14 (0,560)	0,17 (0,389)	-0,05 [-0,691; 0,589]
LS MW (SE)	0,14 (0,084)	0,16 (0,160)	LS MD
95 %-KI	-0,028; 0,310	-0,162; 0,482	-0,02 [-0,383; 0,346] 0,9195
3			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,65 (0,936)	0,27 (1,100)	0,38 [-0,261; 1,022]
LS MW (SE)	0,63 (0,203)	0,31 (0,272)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
95 %-KI	0,215; 1,038	-0,238; 0,866	0,31 [-0,397; 1,022] 0,3775
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,29 (0,742)	0,11 (1,100)	0,21 [-0,338; 0,749]
LS MW (SE)	0,28 (0,136)	0,13 (0,207)	LS MD
95 %-KI	0,003; 0,549	-0,288; 0,541	0,15 [-0,360; 0,658] 0,5590
2			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,30 (0,708)	0,11 (0,567)	0,29 [-0,252; 0,833]
LS MW (SE)	0,30 (0,107)	0,11 (0,162)	LS MD
95 %-KI	0,089; 0,516	-0,218; 0,430	0,20 [-0,195; 0,587] 0,3192
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,50 (0,862)	-0,12 (0,993)	0,68 [0,099; 1,254]
LS MW (SE)	0,47 (0,133)	-0,04 (0,212)	LS MD
95 %-KI	0,203; 0,738	-0,470; 0,381	0,51 [0,007; 1,022] 0,0470
2			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	Hedges' g



PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
MW (SD)	0,09 (0,479)	0,29 (0,717)	-0,34 [-0,861; 0,189]
LS MW (SE)	0,11 (0,090)	0,26 (0,132)	LS MD
95 %-KI	-0,076; 0,286	-0,003; 0,524	-0,16 [-0,482; 0,172] 0,3468
Änderung zu Woche 38			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	36/36 (100)	20/20 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,00 (0,756)	0,15 (0,745)	-0,20 [-0,745; 0,351]
LS MW (SE)	0,04 (0,128)	0,07 (0,175)	LS MD
95 %-KI	-0,214; 0,301	-0,280; 0,423	-0,03 [-0,474; 0,419] 0,9012
2			
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,31 (0,713)	0,28 (1,227)	0,03 [-0,508; 0,572]
LS MW (SE)	0,28 (0,128)	0,36 (0,217)	LS MD
95 %-KI	0,020; 0,534	-0,077; 0,790	-0,08 [-0,593; 0,434] 0,7592
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,38 (0,619)	0,18 (1,168)	0,21 [-0,557; 0,983]
LS MW (SE)	0,34 (0,247)	0,23 (0,304)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Algluco- sidade alfa/Placebo	
95 %-KI	-0,173; 0,856	-0,404; 0,866	0,11 [-0,754; 0,974] 0,7927
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges' g
MW (SD)	-0,07 (0,632)	0,17 (0,389)	-0,39 [-1,039; 0,249]
LS MW (SE)	-0,07 (0,091)	0,17 (0,173)	LS MD
95 %-KI	-0,254; 0,111	-0,175; 0,521	-0,24 [-0,639; 0,150] 0,2188
3			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,46 (0,859)	0,27 (1,223)	0,19 [-0,447; 0,827]
LS MW (SE)	0,46 (0,203)	0,27 (0,271)	LS MD
95 %-KI	0,049; 0,872	-0,283; 0,820	0,19 [-0,518; 0,901] 0,5867
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,29 (0,742)	0,21 (1,273)	0,08 [-0,463; 0,621]
LS MW (SE)	0,29 (0,150)	0,21 (0,228)	LS MD
95 %-KI	-0,014; 0,588	-0,250; 0,666	0,08 [-0,482; 0,641] 0,7778
2			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	Hedges' g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
MW (SD)	0,07 (0,737)	0,21 (0,631)	-0,20 [-0,738; 0,344]
LS MW (SE)	0,07 (0,106)	0,22 (0,161)	LS MD
95 %-KI	-0,145; 0,280	-0,106; 0,538	-0,15 [-0,538; 0,241] 0,4478
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,31 (0,950)	-0,06 (1,088)	0,37 [-0,201; 0,935]
LS MW (SE)	0,29 (0,148)	-0,01 (0,235)	LS MD
95 %-KI	-0,006; 0,587	-0,483; 0,459	0,30 [-0,259; 0,865] 0,2845
2			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,05 (0,434)	0,43 (0,870)	-0,62 [-1,152; -0,086]
LS MW (SE)	0,04 (0,094)	0,44 (0,136)	LS MD
95 %-KI	-0,145; 0,229	0,165; 0,711	-0,40 [-0,735; -0,057] 0,0228
Änderung zu Woche 52			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	36/36 (100)	20/20 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,08 (0,604)	0,05 (0,887)	0,05 [-0,501; 0,593]
LS MW (SE)	0,11 (0,122)	0,01 (0,166)	LS MD

Medizinischer Nutzen, medizinischer Zusatznutzen, Patientengruppen mit therap. bedeutsamem Zusatznutzen

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
95 %-KI	-0,138; 0,352	-0,327; 0,340	0,10 [-0,324; 0,525] 0,6353
2			
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,24 (0,630)	0,33 (1,237)	-0,10 [-0,645; 0,436]
LS MW (SE)	0,22 (0,122)	0,41 (0,206)	LS MD
95 %-KI	-0,028; 0,460	0,001; 0,824	-0,20 [-0,685; 0,291] 0,4229
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,38 (0,500)	0,00 (0,894)	0,53 [-0,252; 1,313]
LS MW (SE)	0,37 (0,162)	0,01 (0,199)	LS MD
95 %-KI	0,033; 0,708	-0,410; 0,422	0,36 [-0,202; 0,931] 0,1948
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,09 (0,684)	0,25 (0,622)	-0,23 [-0,872; 0,411]
LS MW (SE)	0,09 (0,101)	0,27 (0,193)	LS MD
95 %-KI	-0,116; 0,291	-0,119; 0,658	-0,18 [-0,622; 0,258] 0,4094
3			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges' g

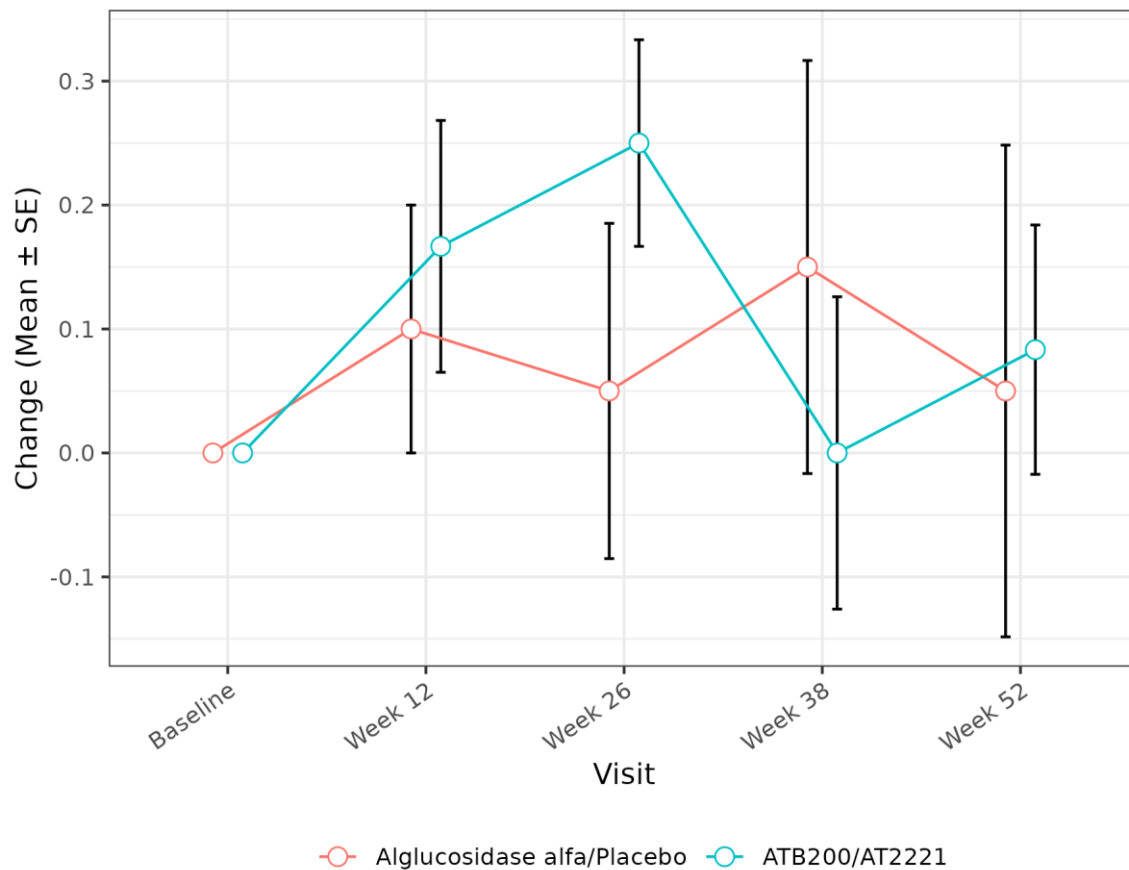
PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
MW (SD)	0,19 (0,567)	0,27 (1,438)	-0,07 [-0,711; 0,561]
LS MW (SE)	0,21 (0,200)	0,24 (0,269)	LS MD
95 %-KI	-0,197; 0,617	-0,310; 0,782	-0,03 [-0,728; 0,675] 0,9394
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,33 (0,570)	0,32 (1,204)	0,02 [-0,521; 0,563]
LS MW (SE)	0,33 (0,129)	0,33 (0,196)	LS MD
95 %-KI	0,069; 0,586	-0,064; 0,722	-0,00 [-0,483; 0,481] 0,9966
2			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,02 (0,636)	0,05 (0,911)	-0,04 [-0,580; 0,500]
LS MW (SE)	0,01 (0,113)	0,08 (0,172)	LS MD
95 %-KI	-0,217; 0,236	-0,260; 0,427	-0,07 [-0,489; 0,342] 0,7229
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,21 (0,682)	-0,06 (1,249)	0,31 [-0,260; 0,873]
LS MW (SE)	0,19 (0,131)	-0,00 (0,209)	LS MD

Medizinischer Nutzen, medizinischer Zusatznutzen, Patientengruppen mit therap. bedeutsamem Zusatznutzen

<b>PROPEL ITT</b>	<b>Behandlungsarm</b>		<b>Effektmaß [95 %-KI] p-Wert</b>
	<b>Cipaglucosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>	
95 %-KI	-0,073; 0,454	-0,419; 0,418	0,19 [-0,309; 0,690] 0,4477
2			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,14 (0,560)	0,38 (0,865)	-0,35 [-0,880; 0,171]
LS MW (SE)	0,13 (0,101)	0,40 (0,147)	LS MD
95 %-KI	-0,074; 0,331	0,109; 0,699	-0,28 [-0,641; 0,091] 0,1379
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

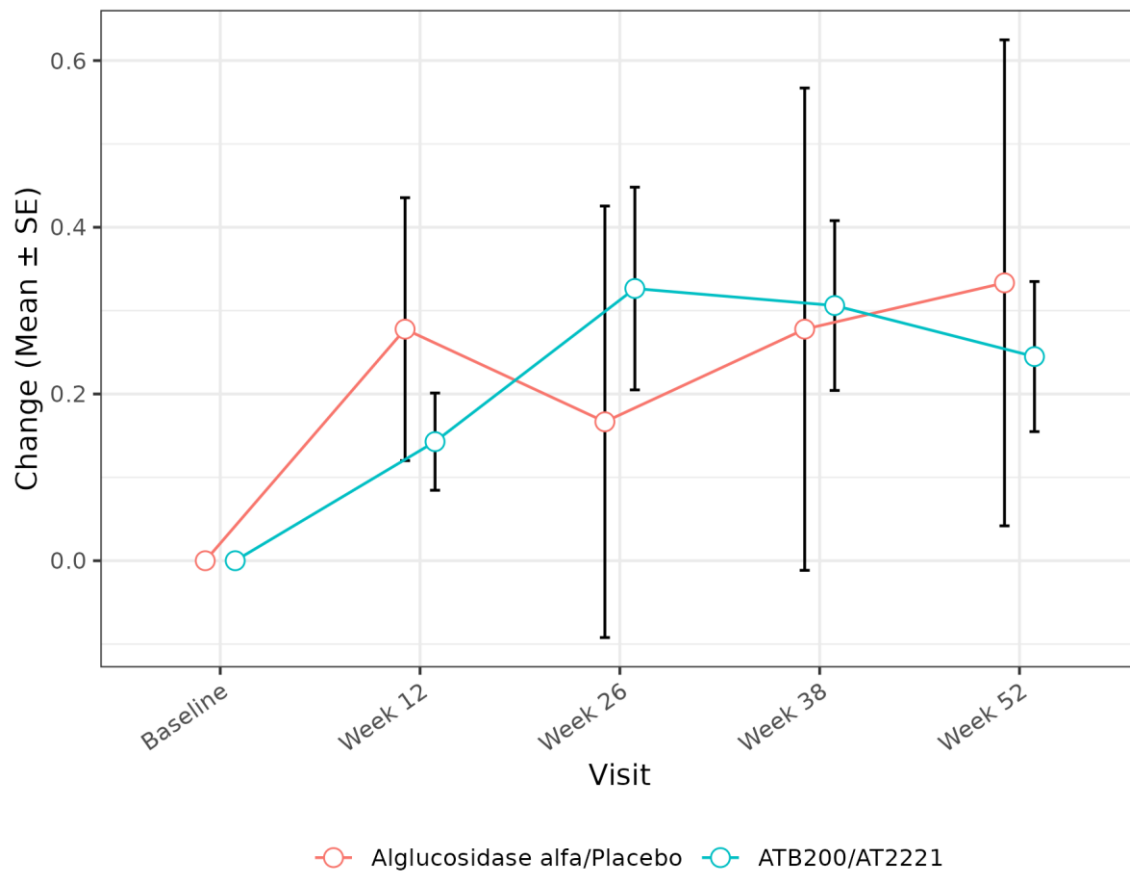
**35.7.1.10.02.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Atemanstrengung: Mittelwertveränderungsplots der Subgruppen****35.7.1.10.02.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Atemanstrengung Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 01\_1**

35.7.1.10.02 01\_1



**35.7.1.10.02.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Atemanstrengung  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 01\_2**

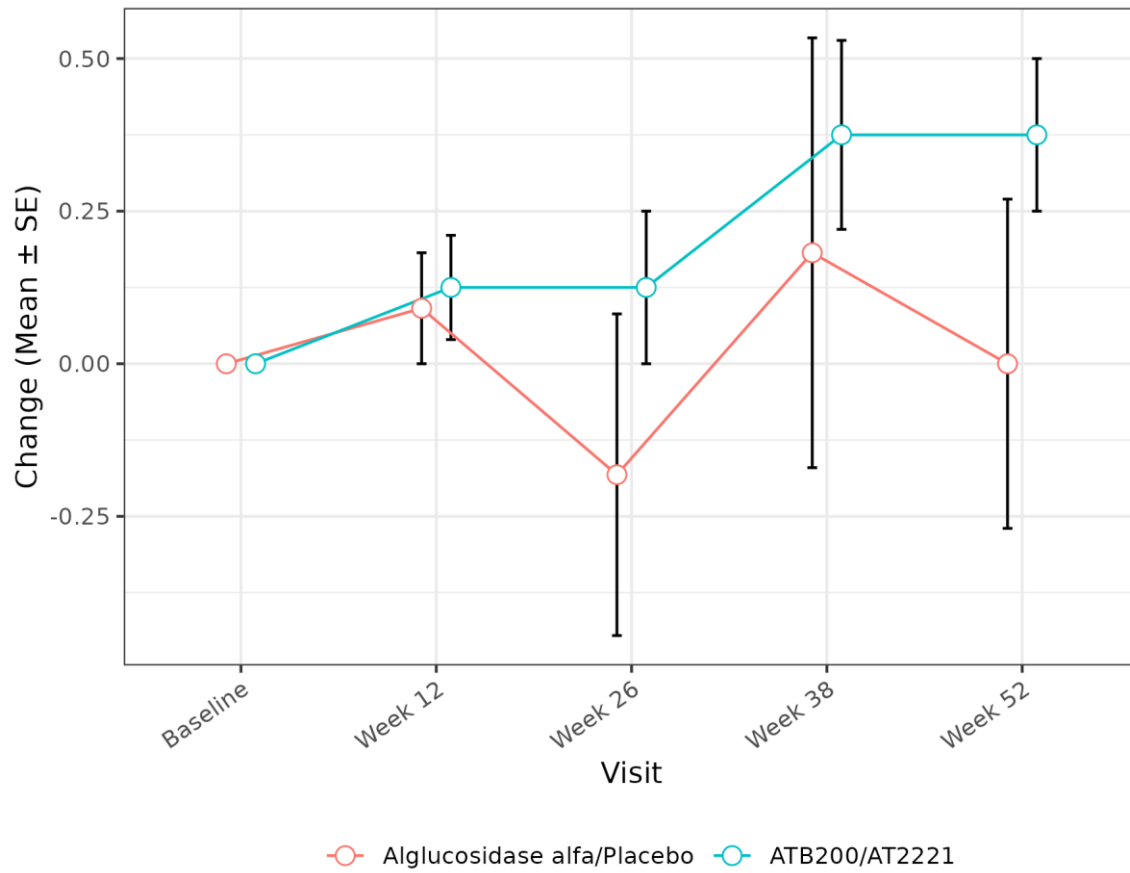
35.7.1.10.02 01\_2





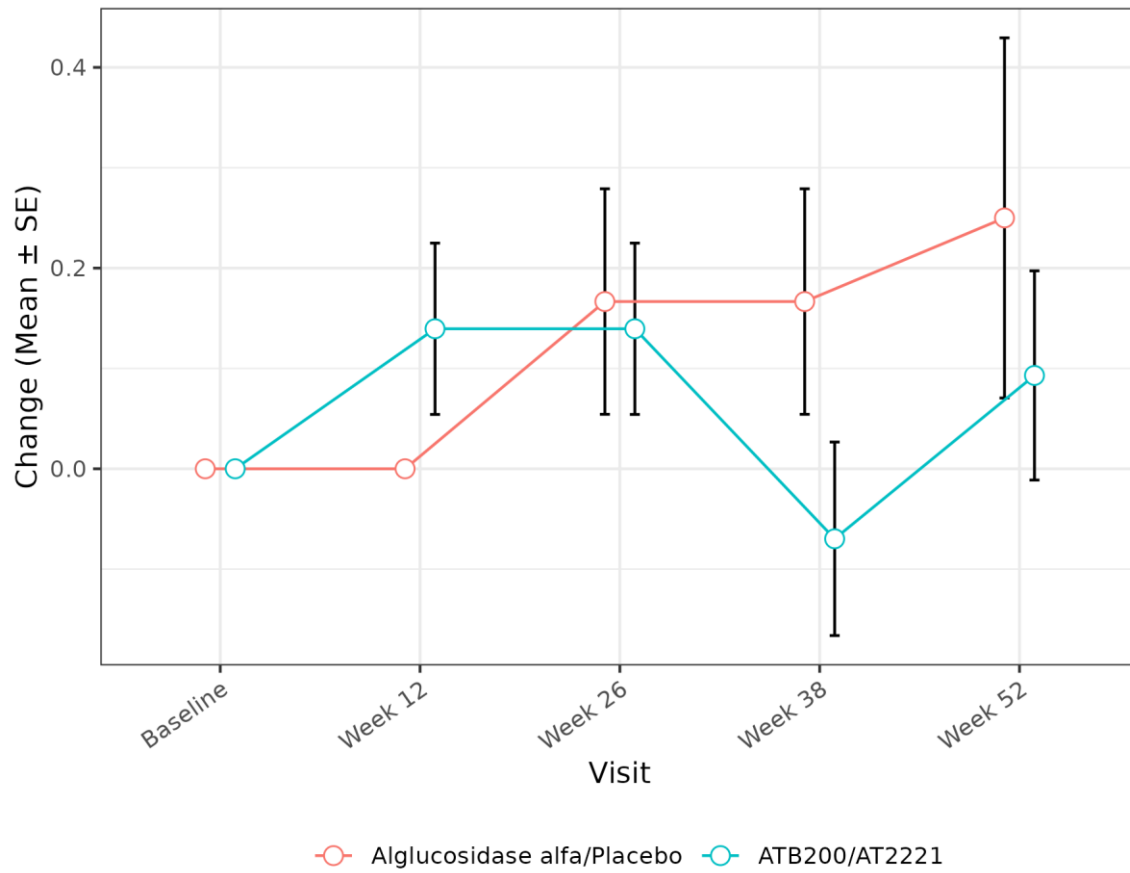
**35.7.1.10.02.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Atemanstrengung  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 03\_1**

35.7.1.10.02 03\_1



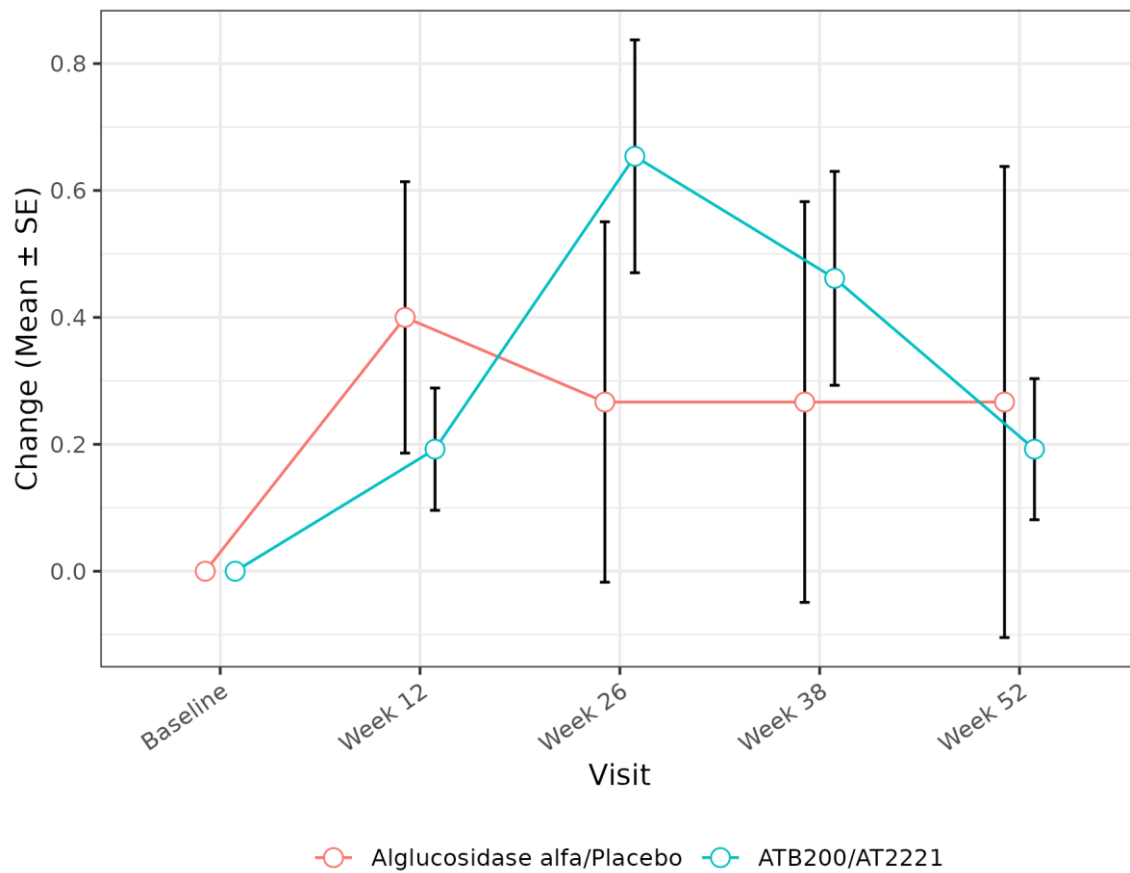
### 35.7.1.10.02.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Atemanstrengung Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 03\_2

35.7.1.10.02 03\_2



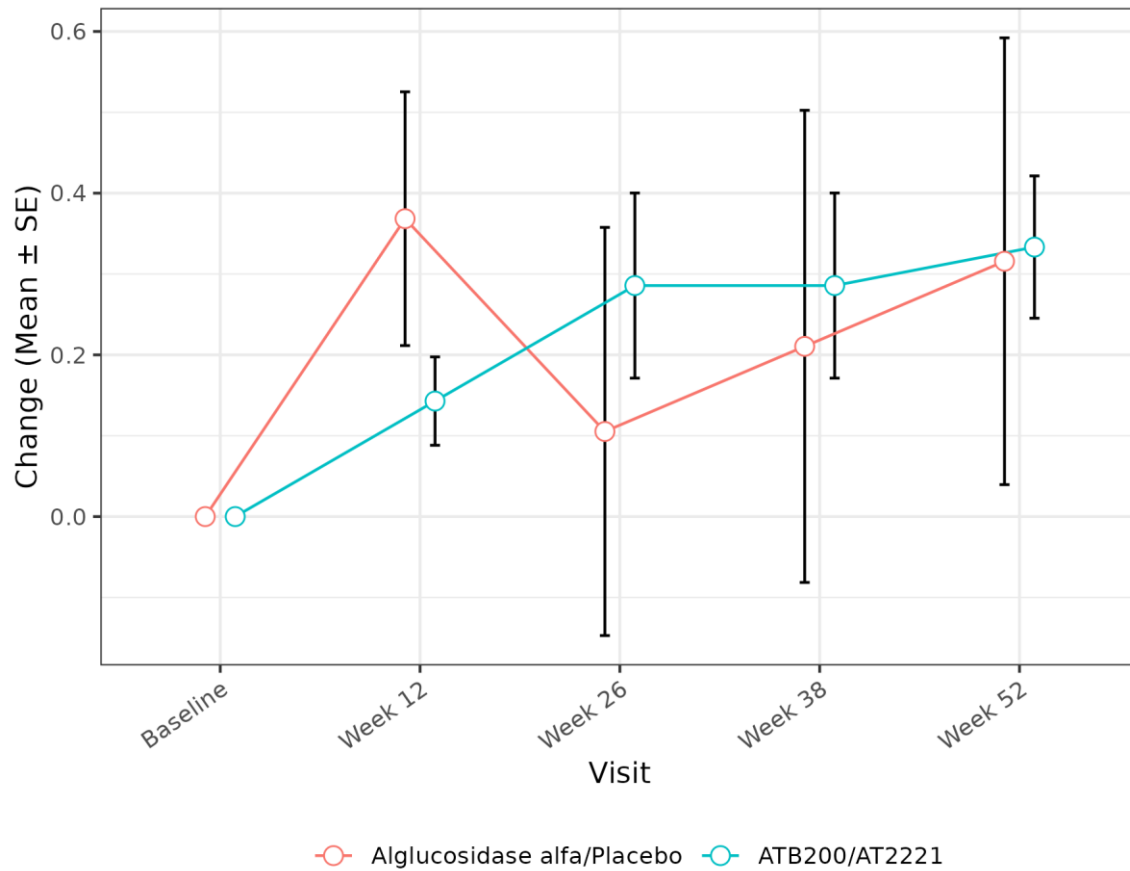
**35.7.1.10.02.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Atemanstrengung  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 03\_3**

35.7.1.10.02 03\_3



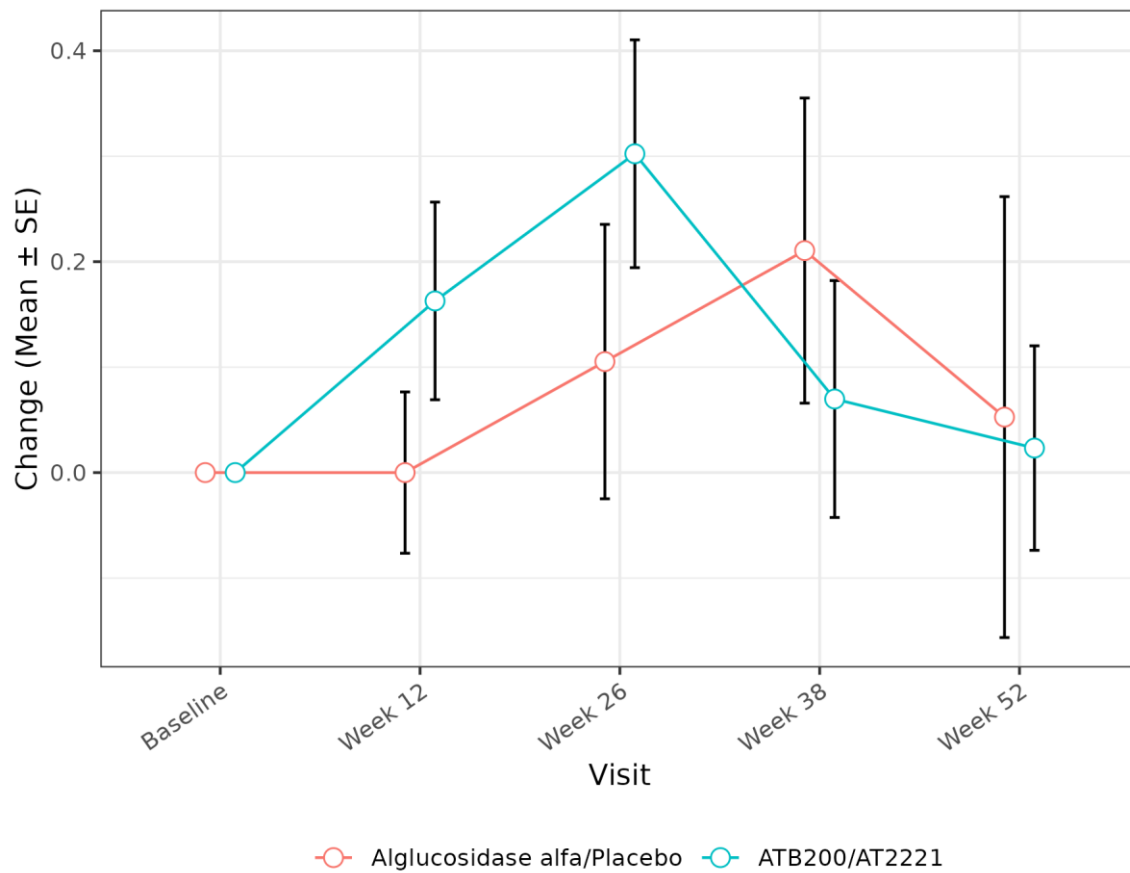
**35.7.1.10.02.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Atemanstrengung  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 07\_1**

35.7.1.10.02 07\_1



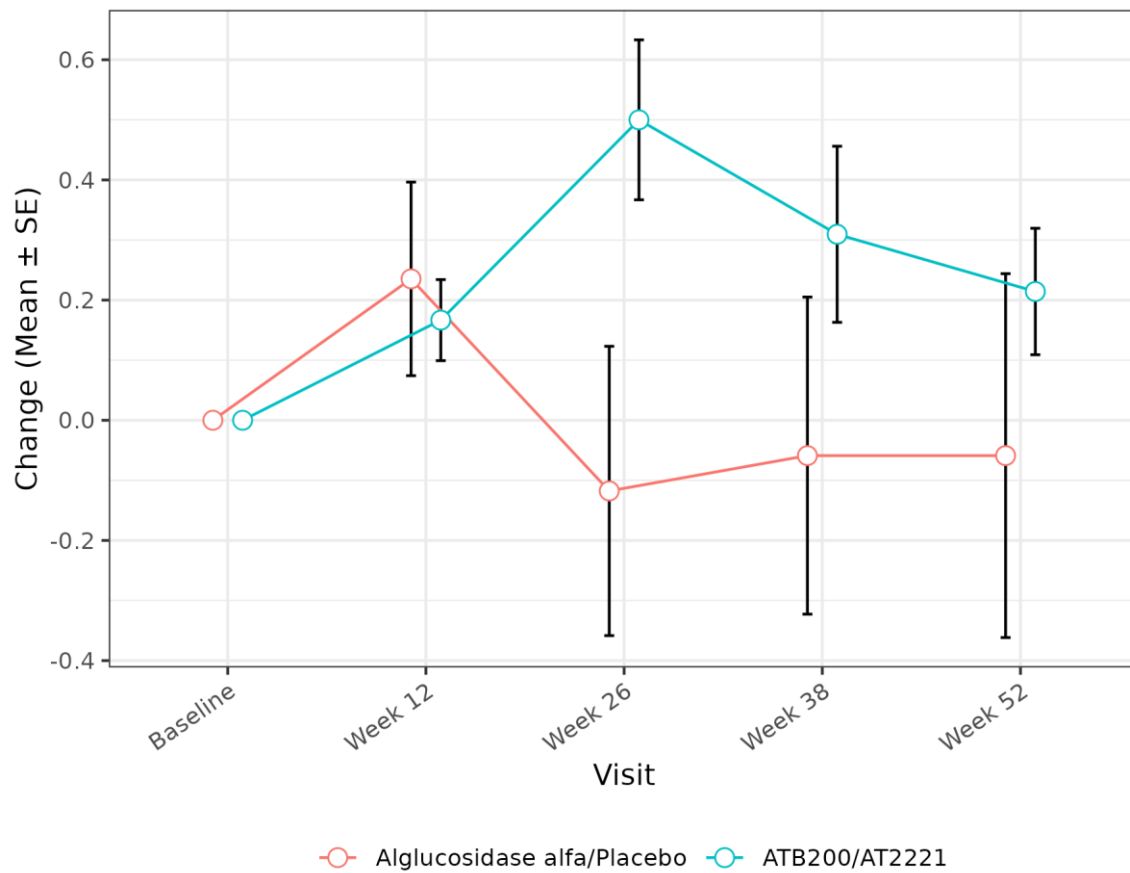
**35.7.1.10.02.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Atemanstrengung  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 07\_2**

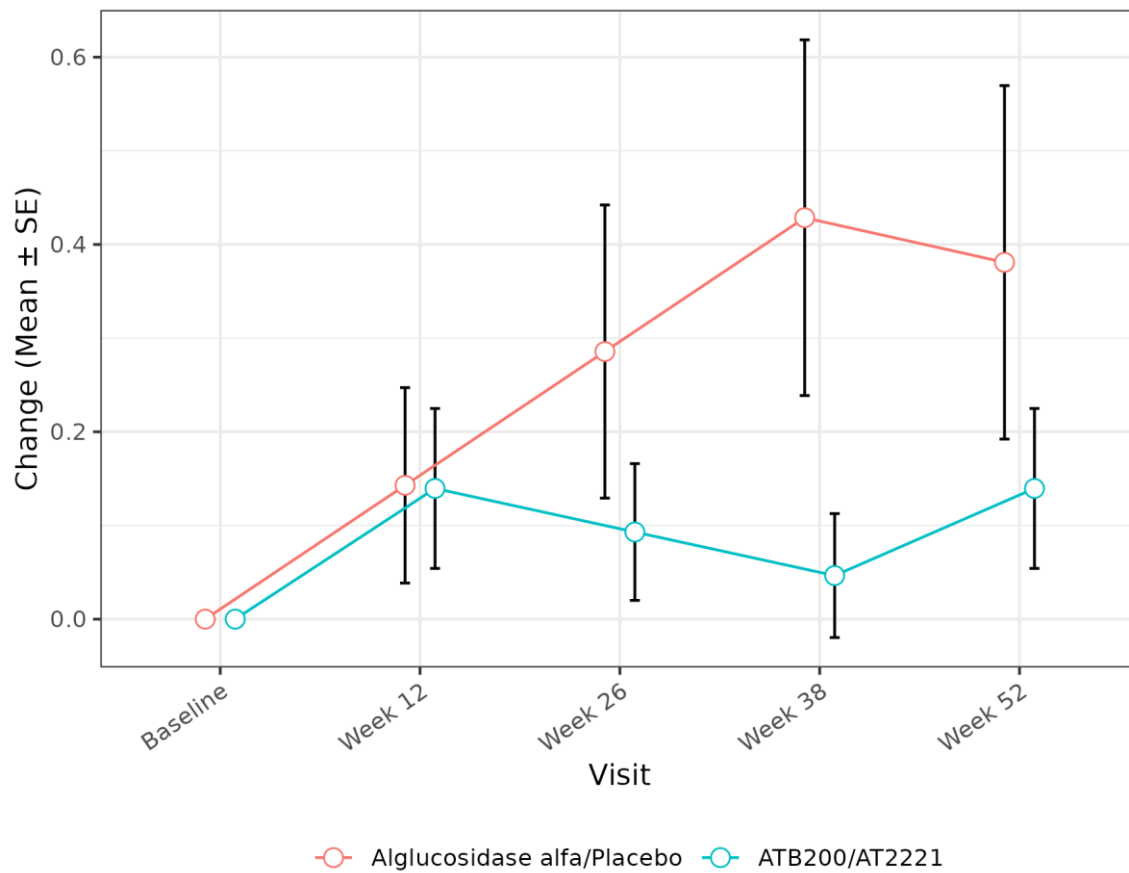
35.7.1.10.02 07\_2



**35.7.1.10.02.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Atemanstrengung  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 08\_1**

35.7.1.10.02 08\_1



**35.7.1.10.02.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Atemanstrengung  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 08\_2****35.7.1.10.02 08\_2**

**35.7.1.10.03.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelkraft****35.7.1.10.03.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelkraft: Analyse**

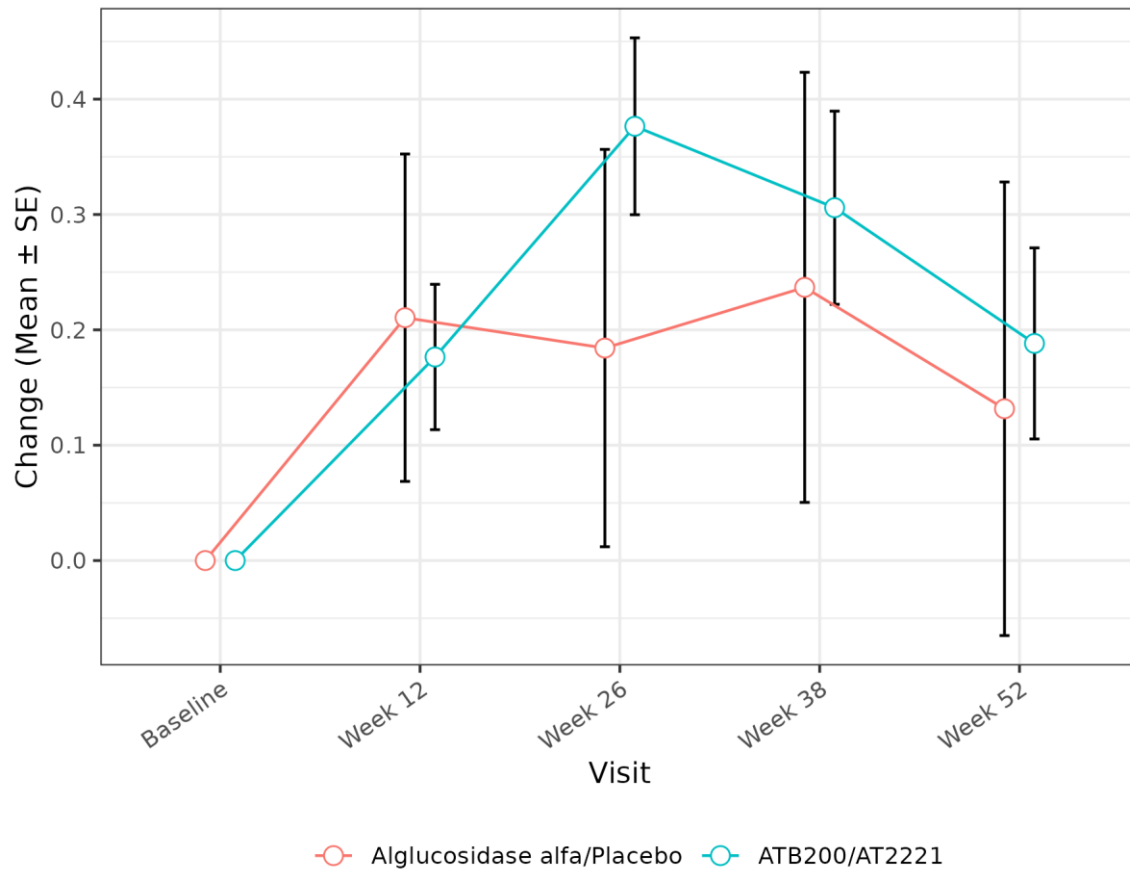
PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipaglicosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelkraft</b>			
<b>Änderung zu Woche 12</b>			
n/N (%)	85/85 (100)	38/38 (100)	Hedges' g -0,05
MW (SD)	0,18 (0,581)	0,21 (0,875)	[-0,432; 0,333] 0,8000
LS MW (SE)	0,18 (0,076)	0,20 (0,115)	LS MD -0,01
95 %-KI	0,032; 0,334	-0,033; 0,425	[-0,291; 0,265] 0,9265
<b>Änderung zu Woche 26</b>			
n/N (%)	85/85 (100)	38/38 (100)	Hedges' g 0,23
MW (SD)	0,38 (0,707)	0,18 (1,062)	[-0,154; 0,613] 0,2404
LS MW (SE)	0,38 (0,090)	0,18 (0,137)	LS MD 0,20
95 %-KI	0,200; 0,558	-0,093; 0,449	[-0,128; 0,531] 0,2284
<b>Änderung zu Woche 38</b>			
n/N (%)	85/85 (100)	38/38 (100)	Hedges' g 0,08
MW (SD)	0,31 (0,772)	0,24 (1,149)	[-0,307; 0,458] 0,6975
LS MW (SE)	0,32 (0,097)	0,20 (0,148)	LS MD 0,13
95 %-KI	0,132; 0,517	-0,097; 0,487	[-0,226; 0,485] 0,4725
<b>Änderung zu Woche 52</b>			
n/N (%)	85/85 (100)	38/38 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,19 (0,764)	0,13 (1,212)	0,06



<b>PROPEL ITT</b>	<b>Behandlungsarm</b>		<b>Effektmaß [95 %-KI] p-Wert</b>
	<b>Cipagluco­sidase alfa/Miglustat</b>	<b>Algluco­sidase alfa/Placebo</b>	
<b>N</b>	<b>85</b>	<b>38</b>	-
			[-0,322; 0,443] 0,7549
<b>LS MW (SE)</b>	0,19 (0,100)	0,13 (0,152)	<b>LS MD</b> 0,06
<b>95 %-KI</b>	-0,009; 0,388	-0,171; 0,430	[-0,305; 0,425] 0,7455
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

### 35.7.1.10.03.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelkraft Mittelwertveränderungsplot

35.7.1.10.03



**35.7.1.10.03.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelkraft: Interaktionstest**

<b>Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelkraft: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	0,3314
02	0,0293
03	0,1885
04	0,0009
05	0,2012
06	0,8392
07	0,8015
08	0,0065
09	0,1091
10	0,0029

*Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.*

*In dem Interaktionstest bei Subgruppe 09 ERT-Dauer wird die Variable ERT-Status aus dem Model entfernt, da es keine Dauer der ERT Behandlung für ERT naive Patienten gibt*

**35.7.1.10.03.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelkraft: Subgruppenanalyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
<b>Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelkraft</b>			
Änderung zu Woche 12			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	36/36 (100)	20/20 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,22 (0,591)	0,10 (0,788)	0,18 [-0,367; 0,728]
LS MW (SE)	0,22 (0,117)	0,10 (0,159)	LS MD
95 %-KI	-0,014; 0,455	-0,217; 0,422	0,12 [-0,288; 0,525] 0,5612
2			
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,14 (0,577)	0,33 (0,970)	-0,27 [-0,811; 0,274]
LS MW (SE)	0,15 (0,102)	0,31 (0,173)	LS MD
95 %-KI	-0,052; 0,358	-0,040; 0,652	-0,15 [-0,563; 0,256] 0,4574
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,25 (0,683)	-0,18 (0,751)	0,59 [-0,197; 1,375]
LS MW (SE)	0,29 (0,194)	-0,24 (0,240)	LS MD
95 %-KI	-0,116; 0,696	-0,741; 0,261	0,53 [-0,151; 1,211] 0,1204
2			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,12 (0,544)	0,17 (0,577)	-0,09 [-0,730; 0,550]
LS MW (SE)	0,12 (0,087)	0,16 (0,166)	LS MD
95 %-KI	-0,058; 0,293	-0,173; 0,496	-0,04 [-0,423; 0,335] 0,8161
<b>3</b>			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,23 (0,587)	0,53 (1,060)	-0,38 [-1,017; 0,266]
LS MW (SE)	0,23 (0,167)	0,53 (0,224)	LS MD
95 %-KI	-0,107; 0,571	0,076; 0,985	-0,30 [-0,883; 0,286] 0,3067
<b>07</b>			
<b>1</b>			
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,17 (0,537)	0,21 (0,918)	-0,06 [-0,606; 0,478]
LS MW (SE)	0,20 (0,107)	0,15 (0,163)	LS MD
95 %-KI	-0,019; 0,411	-0,181; 0,473	0,05 [-0,352; 0,451] 0,8040
<b>2</b>			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,19 (0,627)	0,21 (0,855)	-0,03 [-0,574; 0,506]
LS MW (SE)	0,18 (0,108)	0,22 (0,164)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
95 %-KI	-0,034; 0,401	-0,113; 0,546	-0,03 [-0,431; 0,366] 0,8709
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,21 (0,520)	0,18 (1,074)	0,05 [-0,512; 0,615]
LS MW (SE)	0,21 (0,116)	0,18 (0,185)	LS MD
95 %-KI	-0,021; 0,445	-0,189; 0,552	0,03 [-0,411; 0,473] 0,8894
2			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,14 (0,639)	0,24 (0,700)	-0,15 [-0,670; 0,375]
LS MW (SE)	0,16 (0,105)	0,20 (0,152)	LS MD
95 %-KI	-0,049; 0,370	-0,110; 0,500	-0,03 [-0,413; 0,344] 0,8554
Änderung zu Woche 26			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	36/36 (100)	20/20 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,22 (0,591)	0,15 (0,875)	0,10 [-0,446; 0,648]
LS MW (SE)	0,24 (0,122)	0,12 (0,166)	LS MD
95 %-KI	-0,007; 0,482	-0,211; 0,455	0,12 [-0,308; 0,539] 0,5856
2			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,49 (0,767)	0,22 (1,263)	0,29 [-0,256; 0,829]
LS MW (SE)	0,48 (0,134)	0,25 (0,227)	LS MD
95 %-KI	0,212; 0,748	-0,204; 0,702	0,23 [-0,305; 0,768] 0,3924
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,50 (0,730)	-0,09 (1,136)	0,63 [-0,162; 1,415]
LS MW (SE)	0,48 (0,245)	-0,06 (0,303)	LS MD
95 %-KI	-0,035; 0,988	-0,688; 0,575	0,53 [-0,327; 1,392] 0,2108
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,23 (0,611)	0,17 (0,718)	0,10 [-0,538; 0,743]
LS MW (SE)	0,24 (0,093)	0,13 (0,177)	LS MD
95 %-KI	0,054; 0,429	-0,223; 0,490	0,11 [-0,296; 0,512] 0,5936
3			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,54 (0,811)	0,40 (1,242)	0,14 [-0,499; 0,774]
LS MW (SE)	0,54 (0,211)	0,39 (0,283)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
95 %-KI	0,113; 0,971	-0,181; 0,969	0,15 [-0,592; 0,887] 0,6872
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,40 (0,767)	0,16 (1,214)	0,26 [-0,281; 0,807]
LS MW (SE)	0,44 (0,141)	0,07 (0,214)	LS MD
95 %-KI	0,161; 0,726	-0,357; 0,502	0,37 [-0,157; 0,897] 0,1647
2			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,35 (0,650)	0,21 (0,918)	0,18 [-0,357; 0,725]
LS MW (SE)	0,34 (0,115)	0,24 (0,174)	LS MD
95 %-KI	0,108; 0,567	-0,112; 0,584	0,10 [-0,319; 0,523] 0,6288
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,50 (0,741)	0,06 (1,197)	0,49 [-0,083; 1,058]
LS MW (SE)	0,49 (0,140)	0,08 (0,223)	LS MD
95 %-KI	0,209; 0,771	-0,363; 0,530	0,41 [-0,127; 0,939] 0,1324
2			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	Hedges' g



PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipaglusosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
MW (SD)	0,26 (0,658)	0,29 (0,956)	-0,04 [-0,560; 0,483]
LS MW (SE)	0,28 (0,111)	0,24 (0,162)	LS MD
95 %-KI	0,057; 0,502	-0,086; 0,562	0,04 [-0,361; 0,443] 0,8384
<b>Änderung zu Woche 38</b>			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	36/36 (100)	20/20 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,17 (0,655)	0,10 (0,852)	0,09 [-0,457; 0,637]
LS MW (SE)	0,21 (0,125)	0,02 (0,170)	LS MD
95 %-KI	-0,040; 0,462	-0,322; 0,362	0,19 [-0,243; 0,625] 0,3814
2			
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,41 (0,840)	0,39 (1,420)	0,02 [-0,522; 0,559]
LS MW (SE)	0,42 (0,149)	0,37 (0,251)	LS MD
95 %-KI	0,119; 0,713	-0,135; 0,868	0,05 [-0,544; 0,643] 0,8673
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,38 (0,719)	0,18 (1,328)	0,19 [-0,584; 0,955]
LS MW (SE)	0,34 (0,291)	0,23 (0,359)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipaglusosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
95 %-KI	-0,266; 0,949	-0,520; 0,980	0,11 [-0,909; 1,132] 0,8217
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,19 (0,699)	-0,08 (0,793)	0,37 [-0,275; 1,013]
LS MW (SE)	0,19 (0,101)	-0,10 (0,192)	LS MD
95 %-KI	-0,012; 0,394	-0,489; 0,284	0,29 [-0,144; 0,732] 0,1835
3			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,46 (0,905)	0,53 (1,246)	-0,07 [-0,703; 0,568]
LS MW (SE)	0,50 (0,220)	0,47 (0,295)	LS MD
95 %-KI	0,048; 0,943	-0,126; 1,075	0,02 [-0,751; 0,793] 0,9562
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,31 (0,749)	0,26 (1,368)	0,05 [-0,495; 0,589]
LS MW (SE)	0,37 (0,148)	0,14 (0,225)	LS MD
95 %-KI	0,069; 0,663	-0,313; 0,589	0,23 [-0,326; 0,781] 0,4133
2			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	Hedges' g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
MW (SD)	0,30 (0,803)	0,21 (0,918)	0,11 [-0,432; 0,648]
LS MW (SE)	0,31 (0,128)	0,20 (0,194)	LS MD
95 %-KI	0,051; 0,563	-0,189; 0,589	0,11 [-0,363; 0,577] 0,6495
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,50 (0,834)	0,12 (1,054)	0,42 [-0,150; 0,988]
LS MW (SE)	0,50 (0,143)	0,11 (0,227)	LS MD
95 %-KI	0,216; 0,790	-0,345; 0,567	0,39 [-0,152; 0,937] 0,1542
2			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,12 (0,662)	0,33 (1,238)	-0,24 [-0,765; 0,283]
LS MW (SE)	0,14 (0,130)	0,29 (0,189)	LS MD
95 %-KI	-0,124; 0,397	-0,087; 0,671	-0,16 [-0,625; 0,315] 0,5112
Änderung zu Woche 52			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	36/36 (100)	20/20 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,06 (0,674)	-0,10 (0,852)	0,21 [-0,341; 0,755]
LS MW (SE)	0,07 (0,128)	-0,12 (0,175)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
95 %-KI	-0,192; 0,323	-0,470; 0,233	0,18 [-0,262; 0,630] 0,4111
2			
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,29 (0,816)	0,39 (1,501)	-0,10 [-0,639; 0,442]
LS MW (SE)	0,28 (0,152)	0,40 (0,256)	LS MD
95 %-KI	-0,022; 0,584	-0,108; 0,914	-0,12 [-0,728; 0,483] 0,6875
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,31 (0,873)	0,09 (1,300)	0,20 [-0,568; 0,972]
LS MW (SE)	0,25 (0,308)	0,19 (0,380)	LS MD
95 %-KI	-0,397; 0,887	-0,603; 0,981	0,06 [-1,023; 1,135] 0,9149
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,09 (0,750)	-0,08 (1,311)	0,19 [-0,447; 0,835]
LS MW (SE)	0,10 (0,130)	-0,10 (0,247)	LS MD
95 %-KI	-0,164; 0,359	-0,597; 0,397	0,20 [-0,366; 0,761] 0,4849
3			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges' g

Medizinischer Nutzen, medizinischer Zusatznutzen, Patientengruppen mit therap. bedeutsamem Zusatznutzen

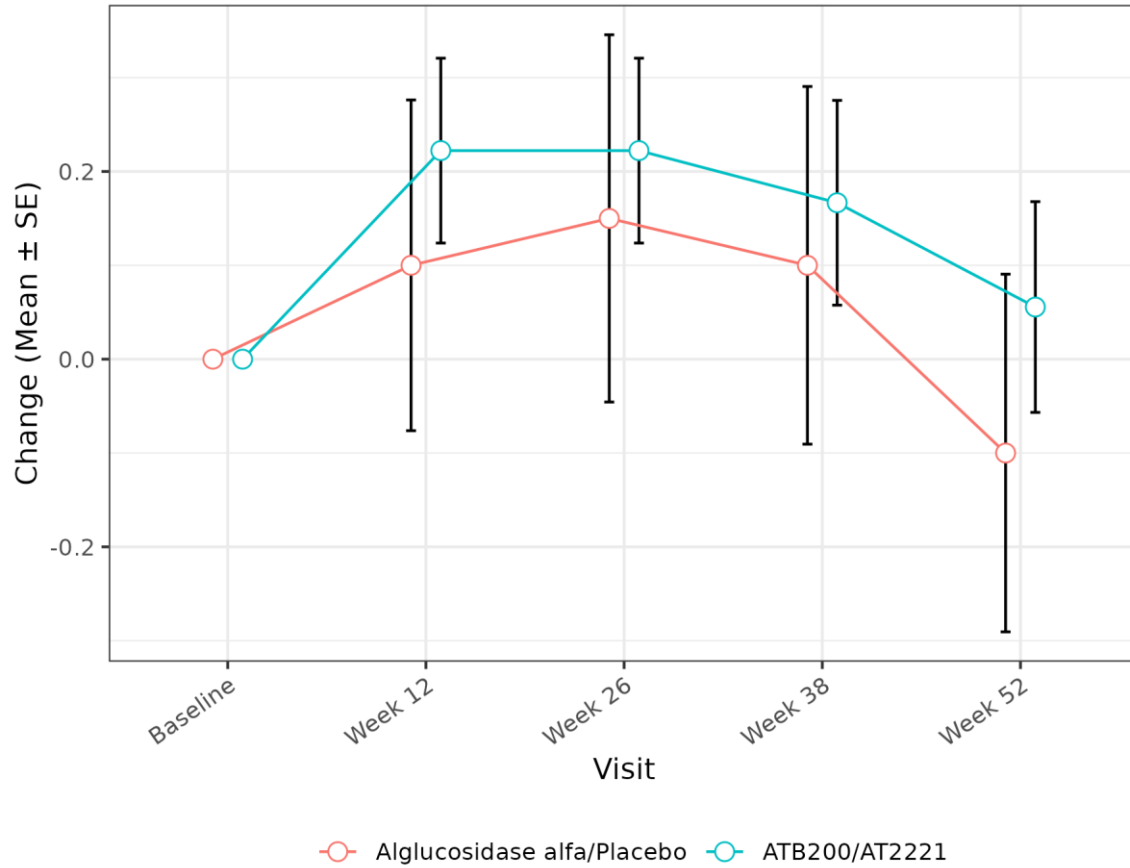
PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
MW (SD)	0,27 (0,724)	0,33 (1,113)	-0,07 [-0,707; 0,565]
LS MW (SE)	0,27 (0,186)	0,33 (0,249)	LS MD
95 %-KI	-0,108; 0,648	-0,175; 0,839	-0,06 [-0,713; 0,589] 0,8480
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,21 (0,871)	0,16 (1,302)	0,05 [-0,487; 0,596]
LS MW (SE)	0,24 (0,155)	0,09 (0,236)	LS MD
95 %-KI	-0,067; 0,555	-0,380; 0,566	0,15 [-0,430; 0,731] 0,6045
2			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,16 (0,652)	0,11 (1,150)	0,07 [-0,472; 0,608]
LS MW (SE)	0,16 (0,125)	0,11 (0,190)	LS MD
95 %-KI	-0,091; 0,410	-0,267; 0,492	0,05 [-0,412; 0,506] 0,8379
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,38 (0,795)	-0,06 (0,899)	0,53 [-0,046; 1,098]
LS MW (SE)	0,38 (0,133)	-0,06 (0,212)	LS MD

<b>PROPEL ITT</b>	<b>Behandlungsarm</b>		<b>Effektmaß [95 %-KI] p-Wert</b>
	<b>Cipaglucosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>	
95 %-KI	0,112; 0,648	-0,482; 0,368	0,44 [-0,071; 0,945] 0,0901
2			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,00 (0,690)	0,29 (1,419)	-0,29 [-0,811; 0,238]
LS MW (SE)	-0,01 (0,147)	0,30 (0,214)	LS MD
95 %-KI	-0,300; 0,287	-0,129; 0,726	-0,30 [-0,836; 0,226] 0,2549
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

**35.7.1.10.03.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelkraft: Mittelwertveränderungsplots der Subgruppen**

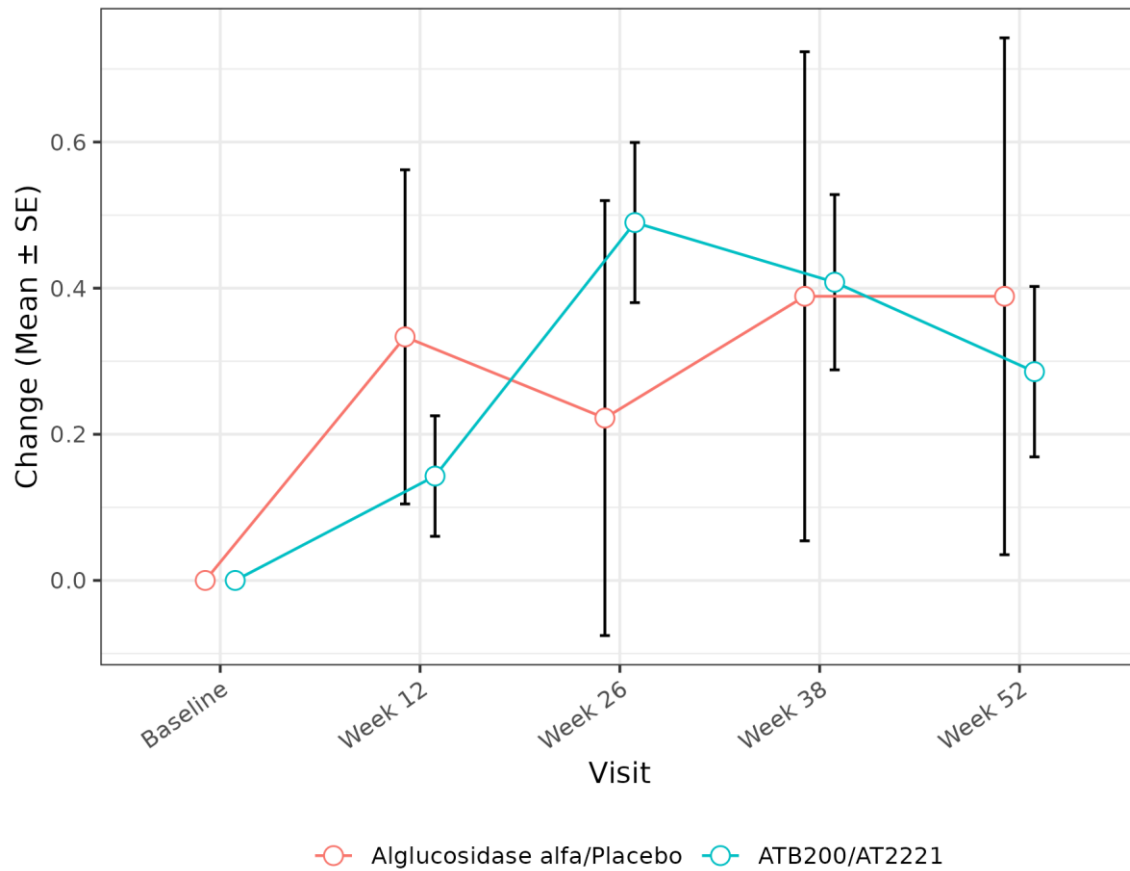
**35.7.1.10.03.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelkraft Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 01\_1**

35.7.1.10.03 01\_1



**35.7.1.10.03.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelkraft  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 01\_2**

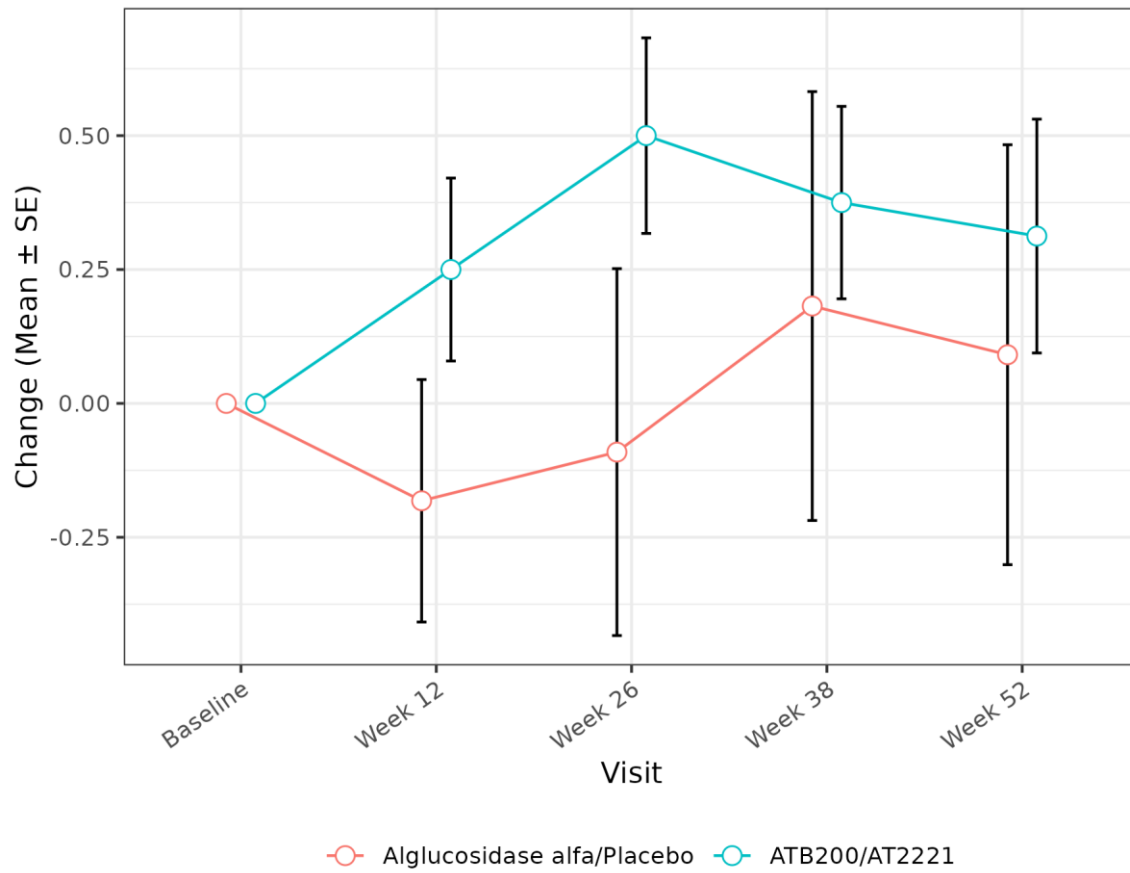
35.7.1.10.03 01\_2





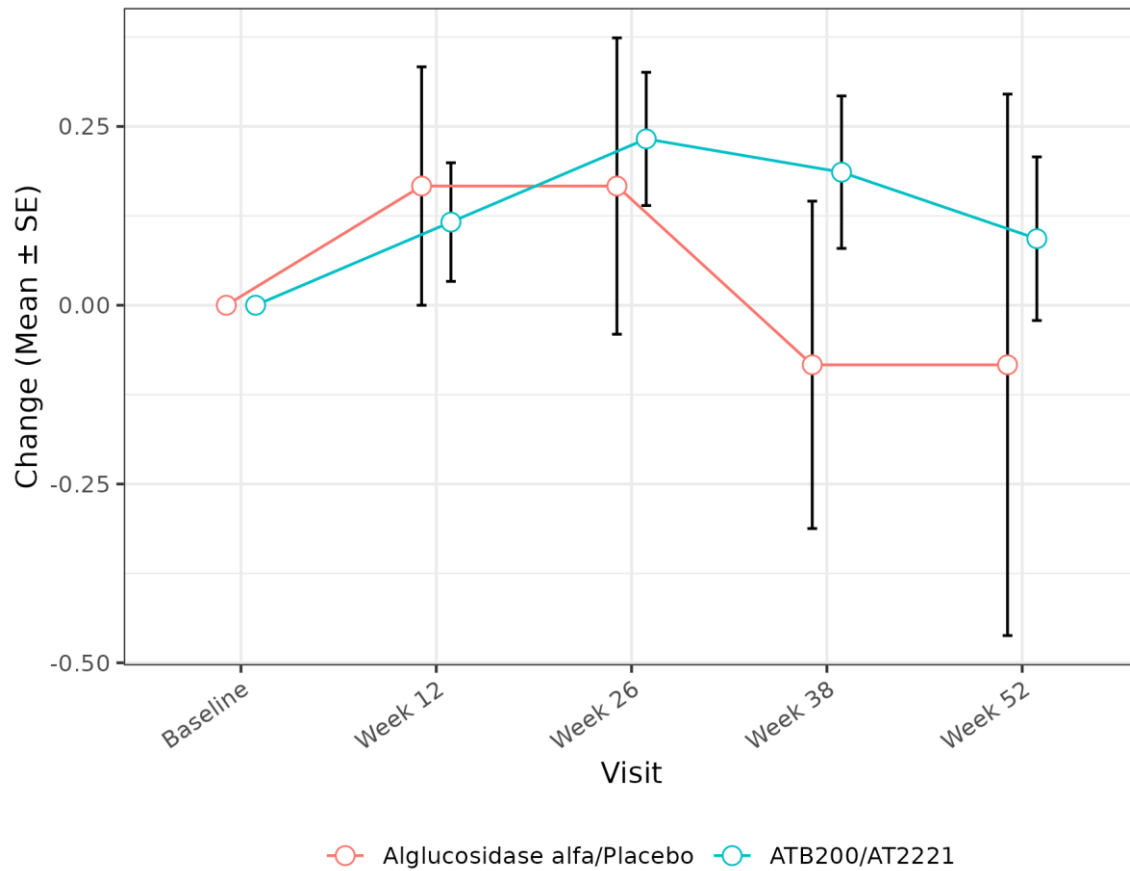
### 35.7.1.10.03.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelkraft Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 03\_1

35.7.1.10.03 03\_1



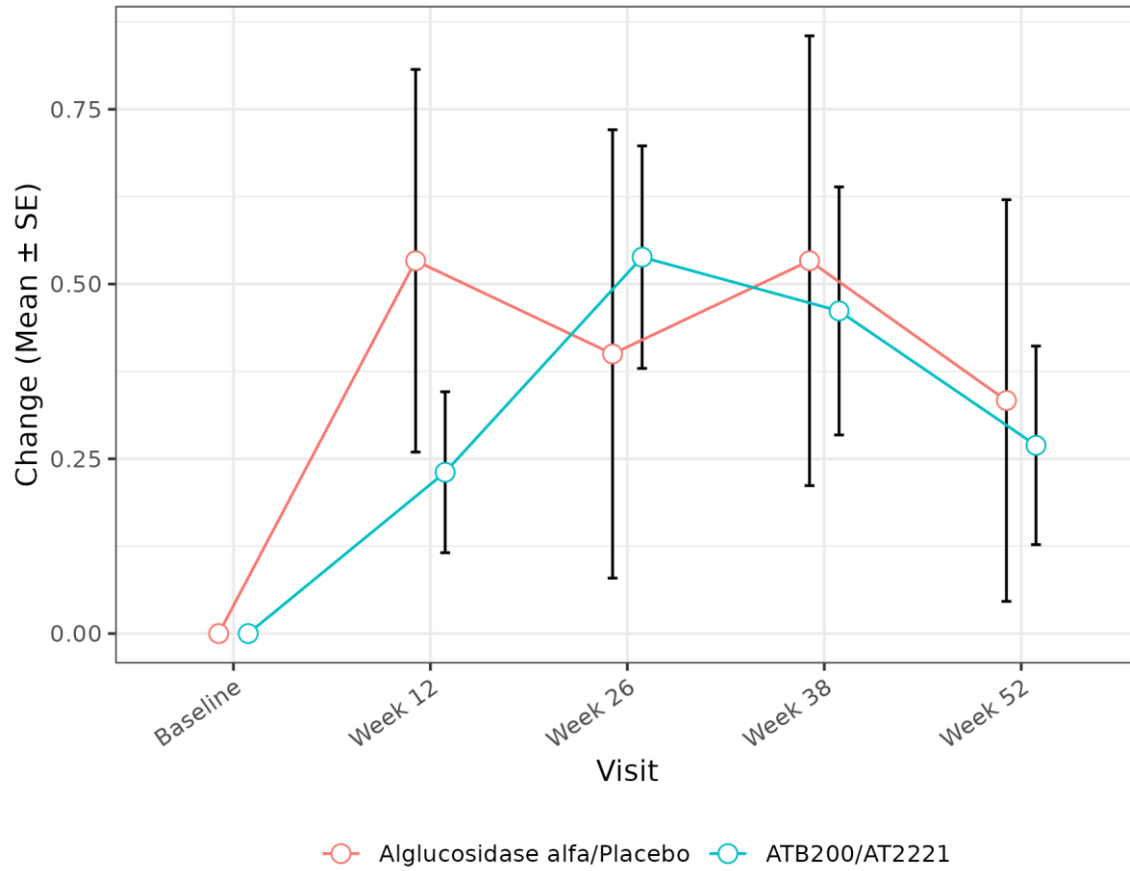
**35.7.1.10.03.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelkraft  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 03\_2**

35.7.1.10.03 03\_2



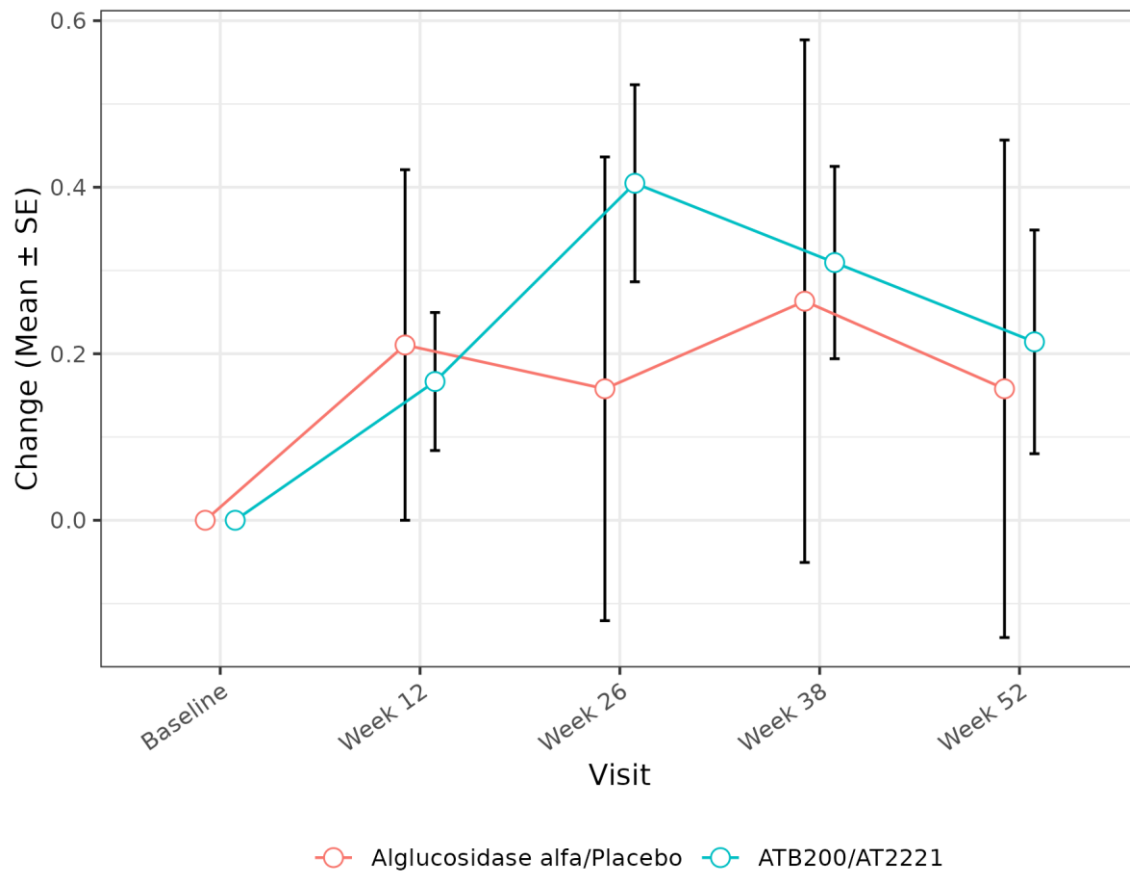
### 35.7.1.10.03.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelkraft Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 03\_3

35.7.1.10.03 03\_3



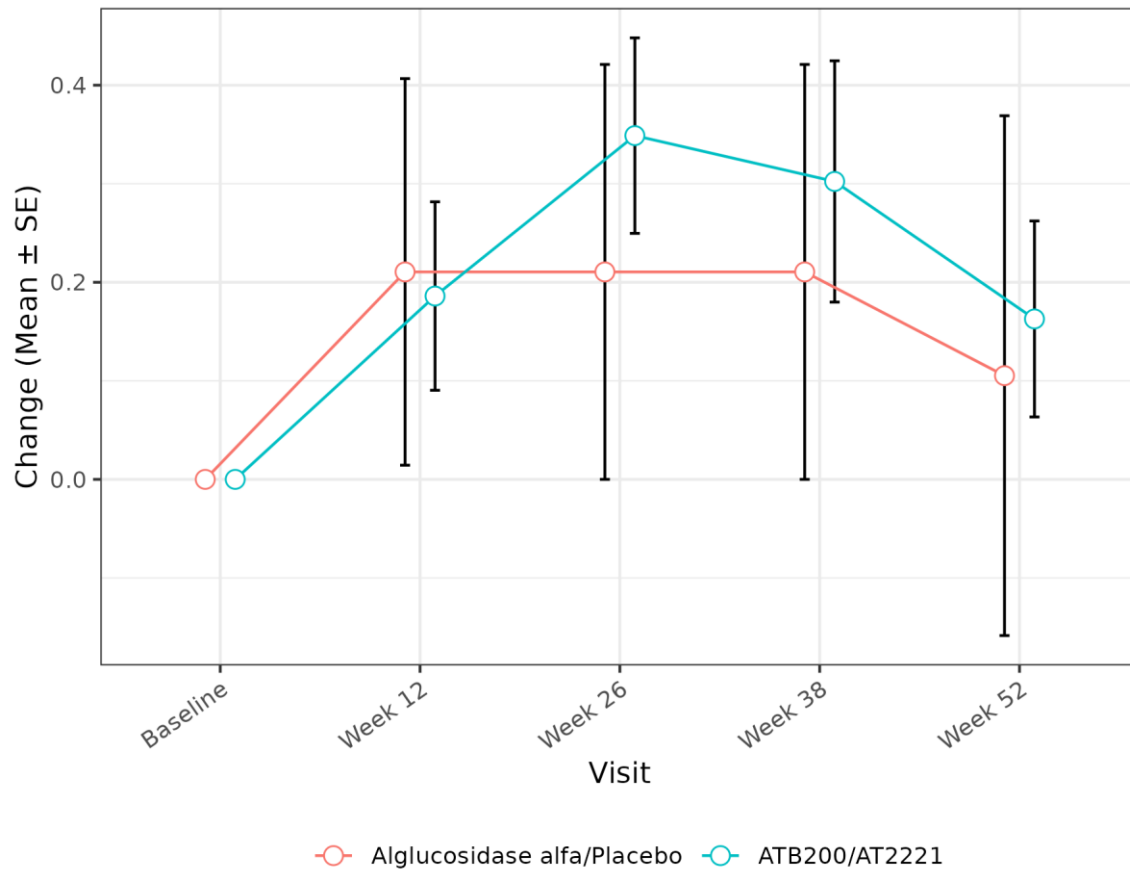
**35.7.1.10.03.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelkraft  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 07\_1**

35.7.1.10.03 07\_1



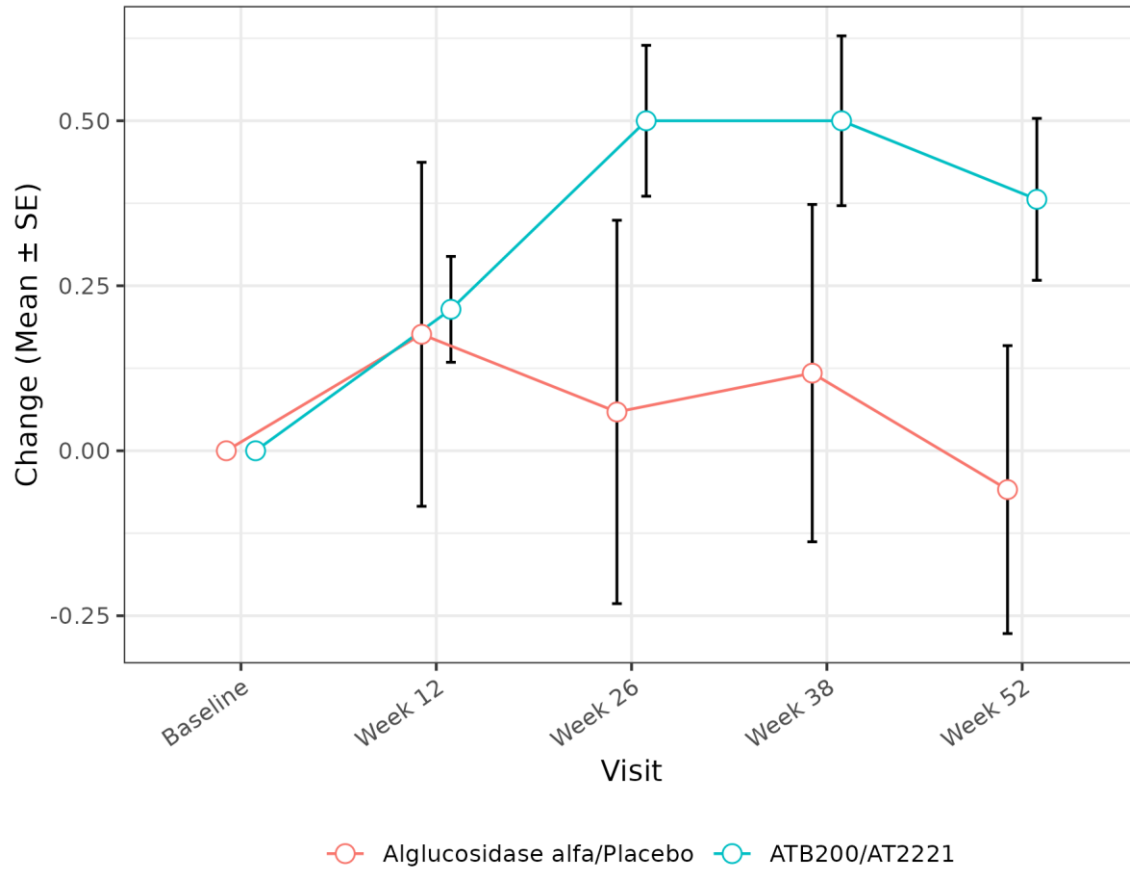
**35.7.1.10.03.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelkraft  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 07\_2**

35.7.1.10.03 07\_2



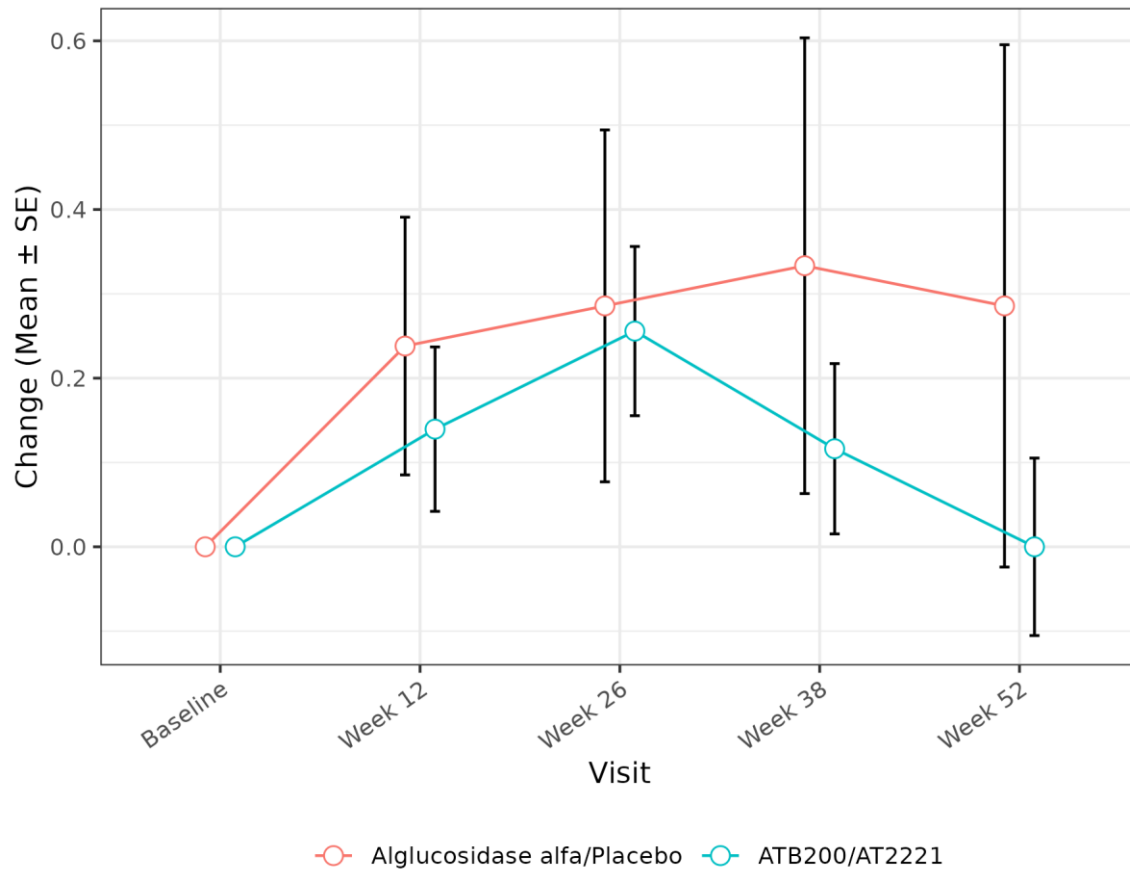
### 35.7.1.10.03.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelkraft Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 08\_1

35.7.1.10.03 08\_1



**35.7.1.10.03.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelkraft  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 08\_2**

35.7.1.10.03 08\_2



**35.7.1.10.04.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelfunktion****35.7.1.10.04.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelfunktion: Analyse**

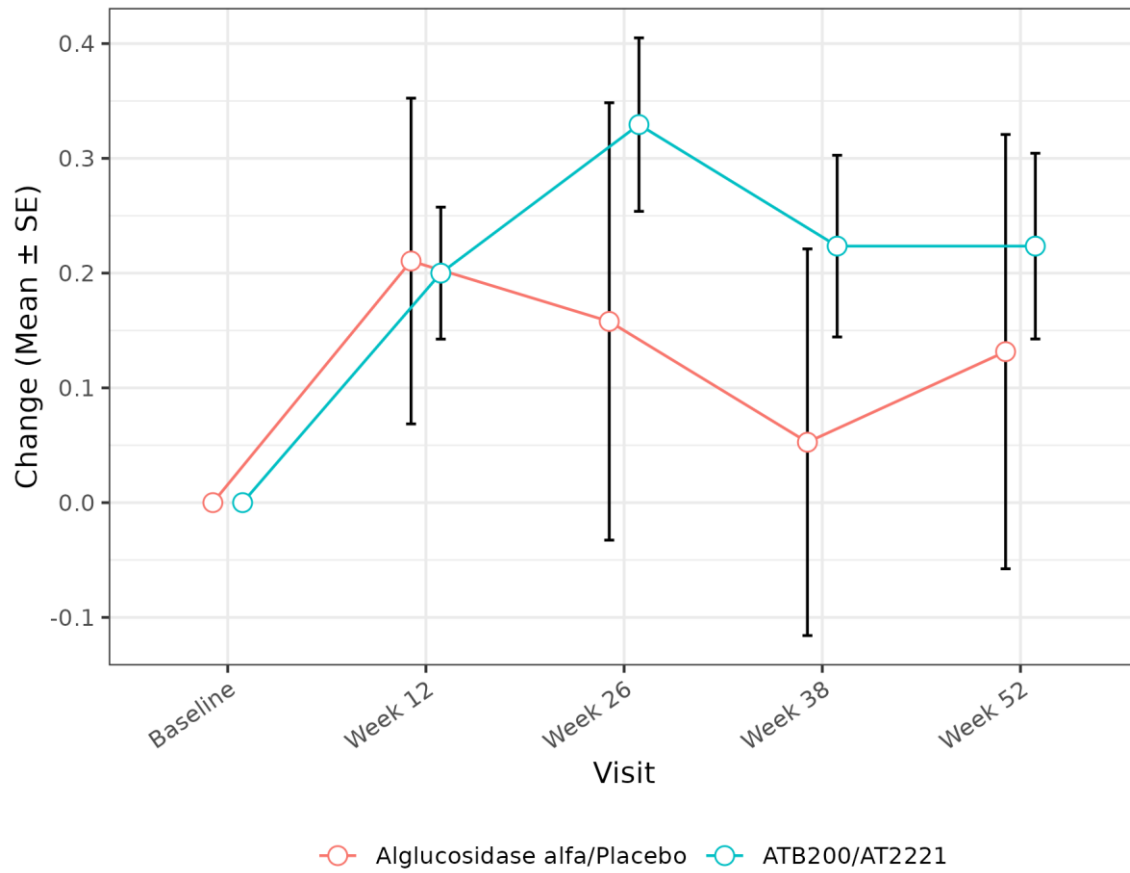
PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelfunktion</b>			
<b>Änderung zu Woche 12</b>			
n/N (%)	85/85 (100)	38/38 (100)	Hedges' g -0,02 [-0,398; 0,367] 0,9348
MW (SD)	0,20 (0,530)	0,21 (0,875)	
LS MW (SE)	0,21 (0,072)	0,18 (0,109)	LS MD 0,03 [-0,229; 0,294] 0,8056
95 %-KI	0,071; 0,355	-0,034; 0,396	
<b>Änderung zu Woche 26</b>			
n/N (%)	85/85 (100)	38/38 (100)	Hedges' g 0,20 [-0,188; 0,579] 0,3170
MW (SD)	0,33 (0,697)	0,16 (1,175)	
LS MW (SE)	0,34 (0,096)	0,14 (0,145)	LS MD 0,20 [-0,151; 0,546] 0,2636
95 %-KI	0,148; 0,527	-0,147; 0,427	
<b>Änderung zu Woche 38</b>			
n/N (%)	85/85 (100)	38/38 (100)	Hedges' g 0,20 [-0,180; 0,586] 0,2992
MW (SD)	0,22 (0,730)	0,05 (1,038)	
LS MW (SE)	0,23 (0,091)	0,03 (0,138)	LS MD 0,20 [-0,134; 0,531] 0,2387
95 %-KI	0,052; 0,412	-0,240; 0,307	
<b>Änderung zu Woche 52</b>			
n/N (%)	85/85 (100)	38/38 (100)	Hedges' g 0,10
MW (SD)	0,22 (0,746)	0,13 (1,166)	



<b>PROPEL ITT</b>	<b>Behandlungsarm</b>		<b>Effektmaß [95 %-KI] p-Wert</b>
	<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Algluco- sidade alfa/Placebo</b>	
<b>N</b>	<b>85</b>	<b>38</b>	-
			[-0,281; 0,485] 0,6014
<b>LS MW (SE)</b>	0,22 (0,097)	0,13 (0,148)	<b>LS MD</b> 0,09
<b>95 %-KI</b>	0,030; 0,416	-0,159; 0,426	[-0,267; 0,444] 0,6215
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

**35.7.1.10.04.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelfunktion  
Mittelwertveränderungsplot**

35.7.1.10.04



**35.7.1.10.04.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelfunktion: Interaktionstest**

<b>Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelfunktion: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	0,7131
02	0,5692
03	0,5491
04	0,0009
05	0,2975
06	0,7307
07	0,7273
08	0,0030
09	0,0357
10	0,0001

*Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.*

*In dem Interaktionstest bei Subgruppe 09 ERT-Dauer wird die Variable ERT-Status aus dem Model entfernt, da es keine Dauer der ERT Behandlung für ERT naive Patienten gibt*

**35.7.1.10.04.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelfunktion: Subgruppenanalyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
<b>Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelfunktion</b>			
Änderung zu Woche 12			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	36/36 (100)	20/20 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,19 (0,467)	0,25 (0,851)	-0,09 [-0,634; 0,460]
LS MW (SE)	0,20 (0,108)	0,24 (0,147)	LS MD
95 %-KI	-0,018; 0,415	-0,053; 0,537	-0,04 [-0,418; 0,331] 0,8170
2			
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,20 (0,577)	0,17 (0,924)	0,05 [-0,486; 0,594]
LS MW (SE)	0,23 (0,096)	0,10 (0,163)	LS MD
95 %-KI	0,037; 0,422	-0,227; 0,423	0,13 [-0,254; 0,516] 0,4991
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,31 (0,479)	-0,09 (0,831)	0,61 [-0,179; 1,395]
LS MW (SE)	0,33 (0,176)	-0,12 (0,217)	LS MD
95 %-KI	-0,037; 0,698	-0,571; 0,336	0,45 [-0,169; 1,066] 0,1454
2			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,16 (0,574)	0,08 (0,669)	0,13 [-0,509; 0,772]
LS MW (SE)	0,16 (0,093)	0,08 (0,176)	LS MD
95 %-KI	-0,023; 0,349	-0,271; 0,438	0,08 [-0,322; 0,481] 0,6931
<b>3</b>			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,19 (0,491)	0,53 (0,990)	-0,47 [-1,114; 0,175]
LS MW (SE)	0,20 (0,151)	0,52 (0,202)	LS MD
95 %-KI	-0,107; 0,506	0,110; 0,932	-0,32 [-0,850; 0,206] 0,2241
<b>07</b>			
<b>1</b>			
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,17 (0,490)	0,26 (0,872)	-0,15 [-0,693; 0,392]
LS MW (SE)	0,20 (0,097)	0,19 (0,148)	LS MD
95 %-KI	0,006; 0,397	-0,111; 0,484	0,01 [-0,350; 0,379] 0,9355
<b>2</b>			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,23 (0,571)	0,16 (0,898)	0,11 [-0,433; 0,648]
LS MW (SE)	0,23 (0,104)	0,16 (0,157)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
95 %-KI	0,026; 0,441	-0,158; 0,471	0,08 [-0,303; 0,457] 0,6873
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,24 (0,532)	0,24 (1,033)	0,00 [-0,560; 0,567]
LS MW (SE)	0,25 (0,112)	0,20 (0,178)	LS MD
95 %-KI	0,026; 0,476	-0,154; 0,562	0,05 [-0,380; 0,474] 0,8268
2			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,16 (0,531)	0,19 (0,750)	-0,04 [-0,567; 0,477]
LS MW (SE)	0,18 (0,097)	0,16 (0,141)	LS MD
95 %-KI	-0,015; 0,372	-0,123; 0,441	0,02 [-0,330; 0,369] 0,9117
Änderung zu Woche 26			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	36/36 (100)	20/20 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,17 (0,561)	0,15 (0,875)	0,02 [-0,523; 0,571]
LS MW (SE)	0,18 (0,119)	0,12 (0,162)	LS MD
95 %-KI	-0,059; 0,420	-0,202; 0,451	0,06 [-0,359; 0,471] 0,7875
2			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,45 (0,765)	0,17 (1,465)	0,28 [-0,263; 0,822]
LS MW (SE)	0,45 (0,146)	0,16 (0,246)	LS MD
95 %-KI	0,160; 0,744	-0,334; 0,651	0,29 [-0,289; 0,877] 0,3177
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,31 (0,602)	-0,09 (1,044)	0,48 [-0,296; 1,264]
LS MW (SE)	0,31 (0,230)	-0,09 (0,283)	LS MD
95 %-KI	-0,165; 0,794	-0,685; 0,497	0,41 [-0,396; 1,213] 0,3023
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,30 (0,708)	-0,08 (0,515)	0,57 [-0,084; 1,214]
LS MW (SE)	0,31 (0,104)	-0,11 (0,198)	LS MD
95 %-KI	0,100; 0,519	-0,507; 0,290	0,42 [-0,034; 0,870] 0,0691
3			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,38 (0,752)	0,53 (1,552)	-0,13 [-0,768; 0,505]
LS MW (SE)	0,39 (0,233)	0,52 (0,313)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
95 %-KI	-0,084; 0,865	-0,113; 1,159	-0,13 [-0,949; 0,685] 0,7446
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,38 (0,764)	0,11 (1,410)	0,27 [-0,274; 0,815]
LS MW (SE)	0,40 (0,155)	0,06 (0,236)	LS MD
95 %-KI	0,089; 0,710	-0,409; 0,536	0,34 [-0,244; 0,916] 0,2507
2			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,28 (0,630)	0,21 (0,918)	0,09 [-0,447; 0,633]
LS MW (SE)	0,29 (0,112)	0,19 (0,170)	LS MD
95 %-KI	0,066; 0,514	-0,155; 0,525	0,11 [-0,306; 0,516] 0,6100
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,48 (0,740)	0,12 (1,409)	0,36 [-0,205; 0,930]
LS MW (SE)	0,46 (0,153)	0,16 (0,243)	LS MD
95 %-KI	0,150; 0,765	-0,324; 0,652	0,29 [-0,289; 0,876] 0,3169
2			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	Hedges' g



PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
MW (SD)	0,19 (0,627)	0,19 (0,981)	-0,01 [-0,528; 0,516]
LS MW (SE)	0,23 (0,114)	0,11 (0,166)	LS MD
95 %-KI	-0,002; 0,455	-0,225; 0,441	0,12 [-0,294; 0,531] 0,5676
Änderung zu Woche 38			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	36/36 (100)	20/20 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,03 (0,654)	0,00 (0,795)	0,04 [-0,508; 0,585]
LS MW (SE)	0,03 (0,121)	-0,01 (0,165)	LS MD
95 %-KI	-0,212; 0,275	-0,338; 0,325	0,04 [-0,384; 0,460] 0,8574
2			
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,37 (0,755)	0,11 (1,278)	0,27 [-0,267; 0,817]
LS MW (SE)	0,37 (0,132)	0,11 (0,223)	LS MD
95 %-KI	0,104; 0,632	-0,337; 0,555	0,26 [-0,269; 0,787] 0,3299
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,06 (0,574)	0,09 (1,044)	-0,03 [-0,802; 0,733]
LS MW (SE)	-0,03 (0,226)	0,22 (0,279)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
95 %-KI	-0,498; 0,444	-0,360; 0,803	-0,25 [-1,040; 0,543] 0,5203
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,09 (0,750)	-0,17 (0,577)	0,36 [-0,287; 1,000]
LS MW (SE)	0,10 (0,107)	-0,18 (0,204)	LS MD
95 %-KI	-0,120; 0,311	-0,587; 0,233	0,27 [-0,192; 0,738] 0,2433
3			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,54 (0,706)	0,20 (1,320)	0,34 [-0,299; 0,982]
LS MW (SE)	0,58 (0,205)	0,14 (0,275)	LS MD
95 %-KI	0,160; 0,992	-0,423; 0,693	0,44 [-0,276; 1,158] 0,2202
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,26 (0,734)	0,00 (1,202)	0,29 [-0,258; 0,831]
LS MW (SE)	0,29 (0,140)	-0,07 (0,212)	LS MD
95 %-KI	0,014; 0,574	-0,497; 0,355	0,36 [-0,158; 0,888] 0,1672
2			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	Hedges' g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
MW (SD)	0,19 (0,732)	0,11 (0,875)	0,10 [-0,438; 0,643]
LS MW (SE)	0,19 (0,119)	0,10 (0,180)	LS MD
95 %-KI	-0,049; 0,427	-0,262; 0,460	0,09 [-0,347; 0,527] 0,6814
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,43 (0,737)	-0,12 (0,928)	0,68 [0,100; 1,255]
LS MW (SE)	0,42 (0,126)	-0,09 (0,200)	LS MD
95 %-KI	0,162; 0,668	-0,487; 0,317	0,50 [0,020; 0,981] 0,0415
2			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,02 (0,672)	0,19 (1,123)	-0,20 [-0,719; 0,327]
LS MW (SE)	0,05 (0,121)	0,14 (0,177)	LS MD
95 %-KI	-0,197; 0,289	-0,210; 0,498	-0,10 [-0,537; 0,342] 0,6572
Änderung zu Woche 52			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	36/36 (100)	20/20 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,08 (0,692)	-0,05 (0,826)	0,18 [-0,370; 0,725]
LS MW (SE)	0,10 (0,129)	-0,07 (0,175)	LS MD

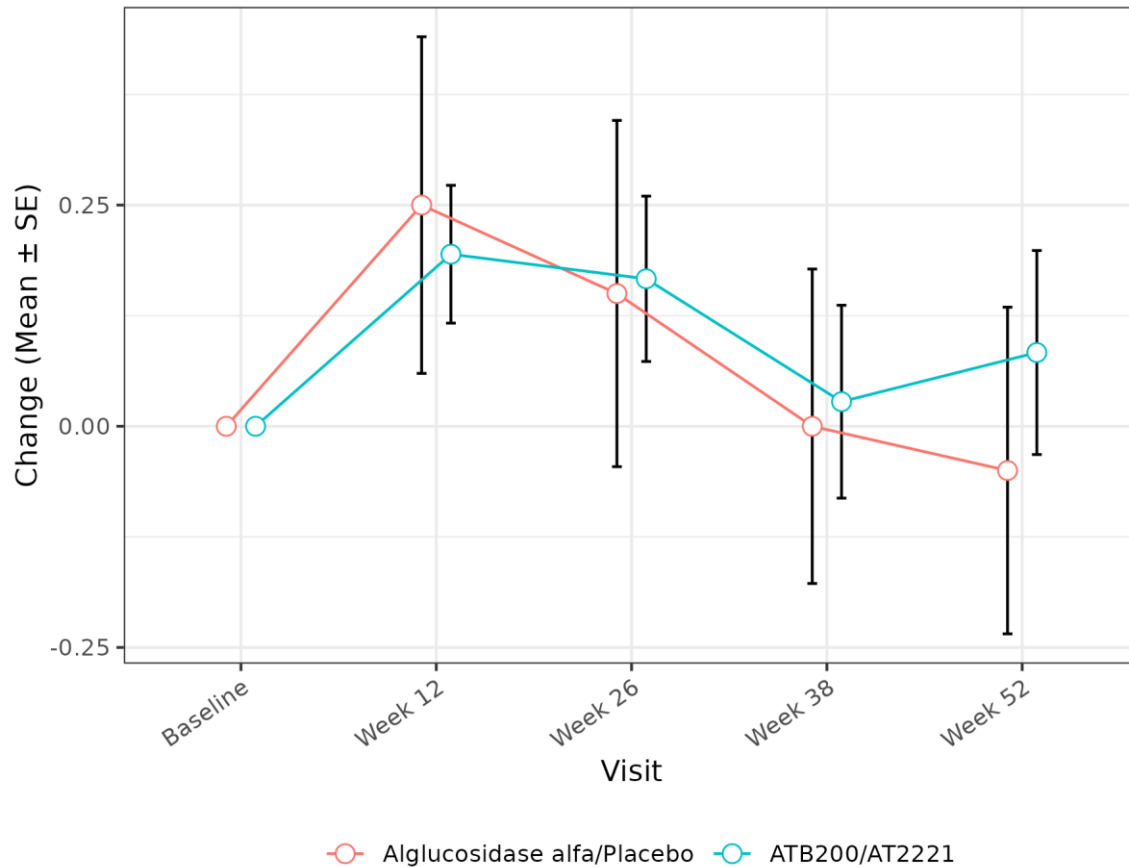
PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
95 %-KI	-0,162; 0,355	-0,425; 0,279	0,17 [-0,279; 0,617] 0,4518
2			
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,33 (0,774)	0,33 (1,455)	-0,01 [-0,547; 0,533]
LS MW (SE)	0,31 (0,145)	0,38 (0,245)	LS MD
95 %-KI	0,018; 0,598	-0,105; 0,873	-0,08 [-0,655; 0,503] 0,7935
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,19 (0,750)	0,18 (1,250)	0,01 [-0,762; 0,773]
LS MW (SE)	0,06 (0,275)	0,37 (0,339)	LS MD
95 %-KI	-0,512; 0,633	-0,340; 1,073	-0,31 [-1,268; 0,656] 0,5143
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,16 (0,814)	0,00 (1,128)	0,18 [-0,460; 0,821]
LS MW (SE)	0,17 (0,134)	-0,01 (0,256)	LS MD
95 %-KI	-0,104; 0,436	-0,525; 0,503	0,18 [-0,405; 0,759] 0,5441
3			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges' g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
MW (SD)	0,35 (0,629)	0,20 (1,207)	0,16 [-0,474; 0,799]
LS MW (SE)	0,36 (0,186)	0,17 (0,249)	LS MD
95 %-KI	-0,015; 0,739	-0,333; 0,678	0,19 [-0,461; 0,839] 0,5582
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,31 (0,749)	0,11 (1,329)	0,21 [-0,334; 0,753]
LS MW (SE)	0,34 (0,140)	0,03 (0,213)	LS MD
95 %-KI	0,064; 0,625	-0,399; 0,455	0,32 [-0,207; 0,840] 0,2311
2			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,14 (0,743)	0,16 (1,015)	-0,02 [-0,562; 0,518]
LS MW (SE)	0,13 (0,126)	0,18 (0,191)	LS MD
95 %-KI	-0,121; 0,383	-0,206; 0,560	-0,05 [-0,508; 0,416] 0,8425
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,43 (0,770)	-0,06 (0,899)	0,60 [0,021; 1,169]
LS MW (SE)	0,42 (0,126)	-0,03 (0,200)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
95 %-KI	0,163; 0,667	-0,427; 0,375	0,44 [-0,038; 0,920] 0,0703
2			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,02 (0,672)	0,29 (1,347)	-0,27 [-0,799; 0,249]
LS MW (SE)	0,01 (0,139)	0,30 (0,203)	LS MD
95 %-KI	-0,265; 0,294	-0,103; 0,710	-0,29 [-0,793; 0,216] 0,2563
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

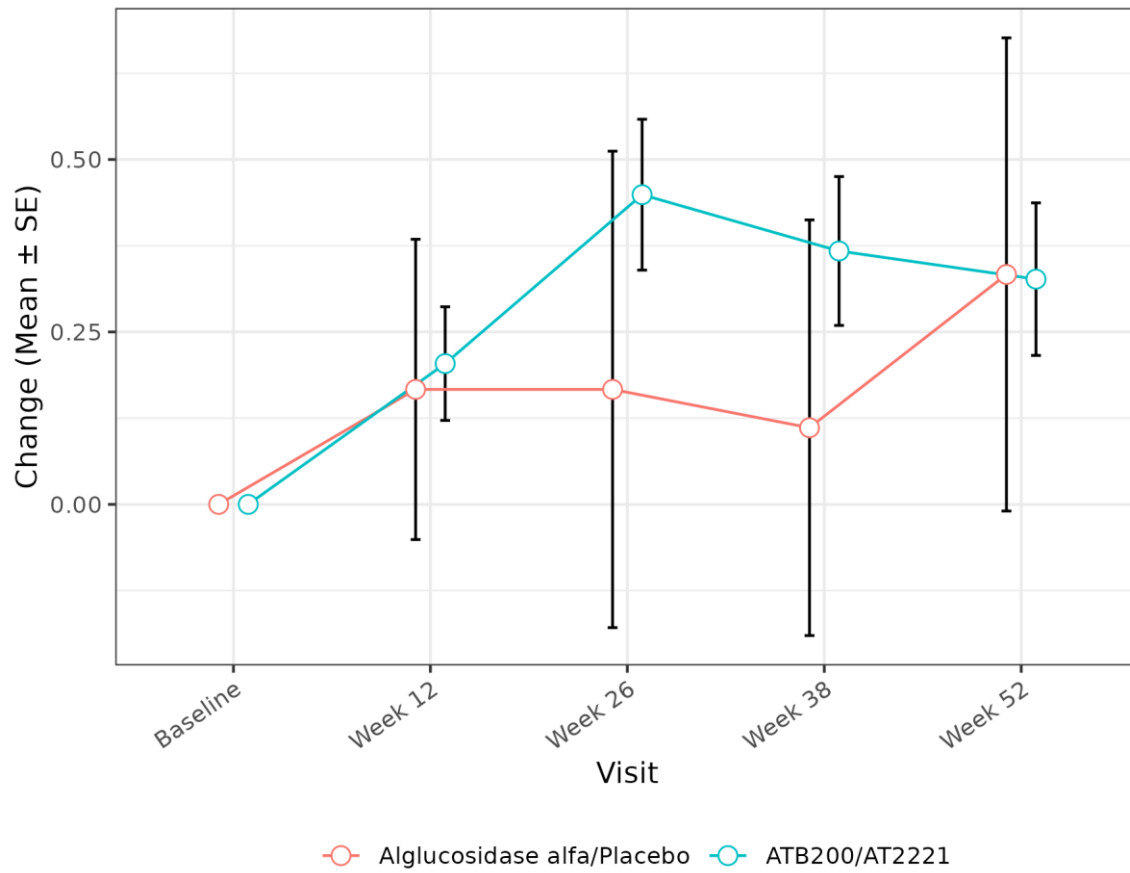
**35.7.1.10.04.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelfunktion: Mittelwertveränderungsplots der Subgruppen****35.7.1.10.04.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelfunktion Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 01\_1**

35.7.1.10.04 01\_1



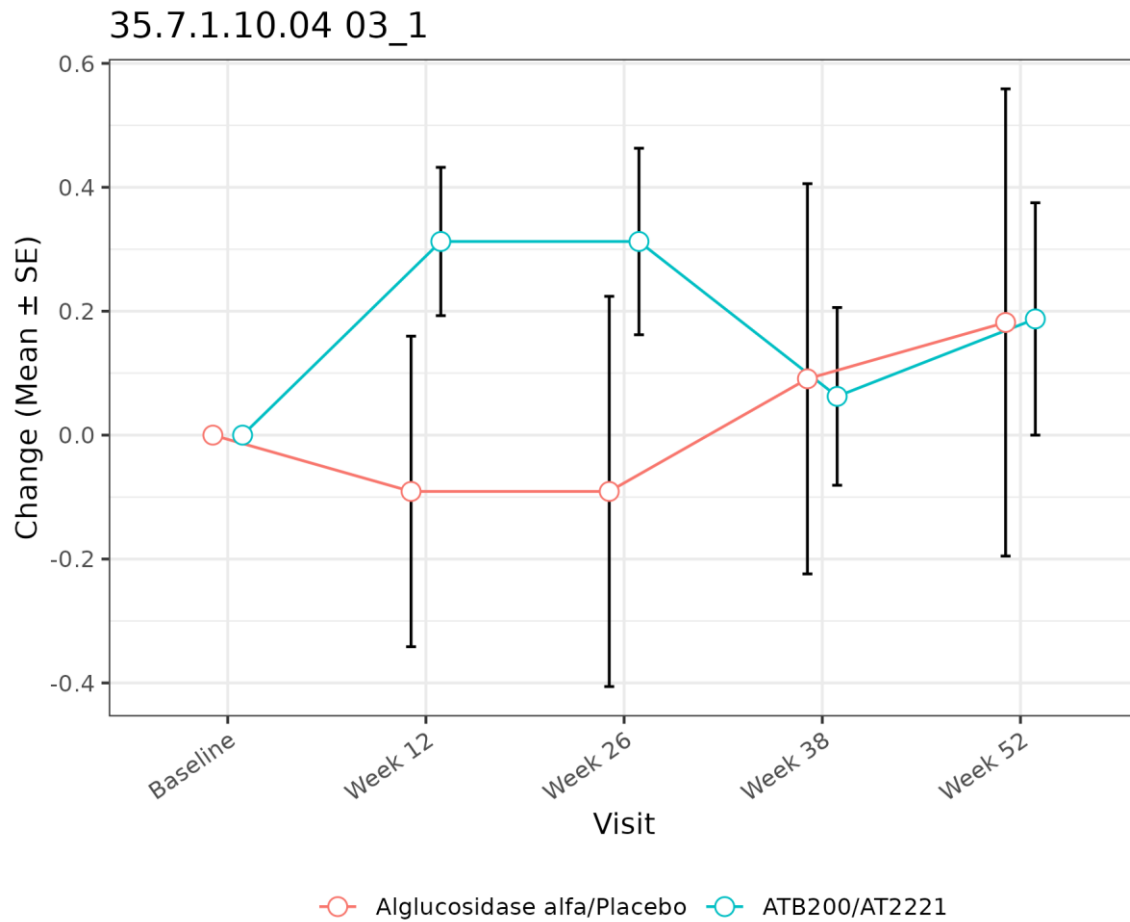
**35.7.1.10.04.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelfunktion  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 01\_2**

35.7.1.10.04 01\_2



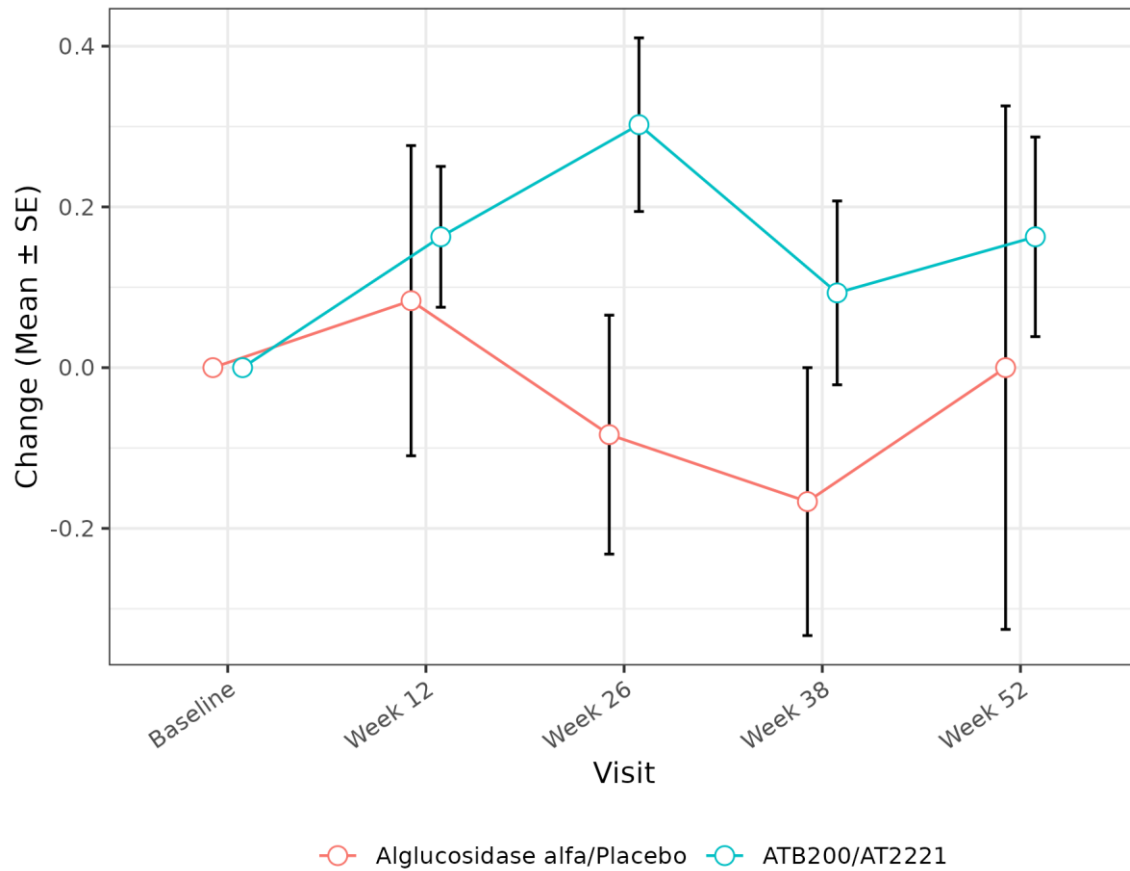


**35.7.1.10.04.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelfunktion  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 03\_1**



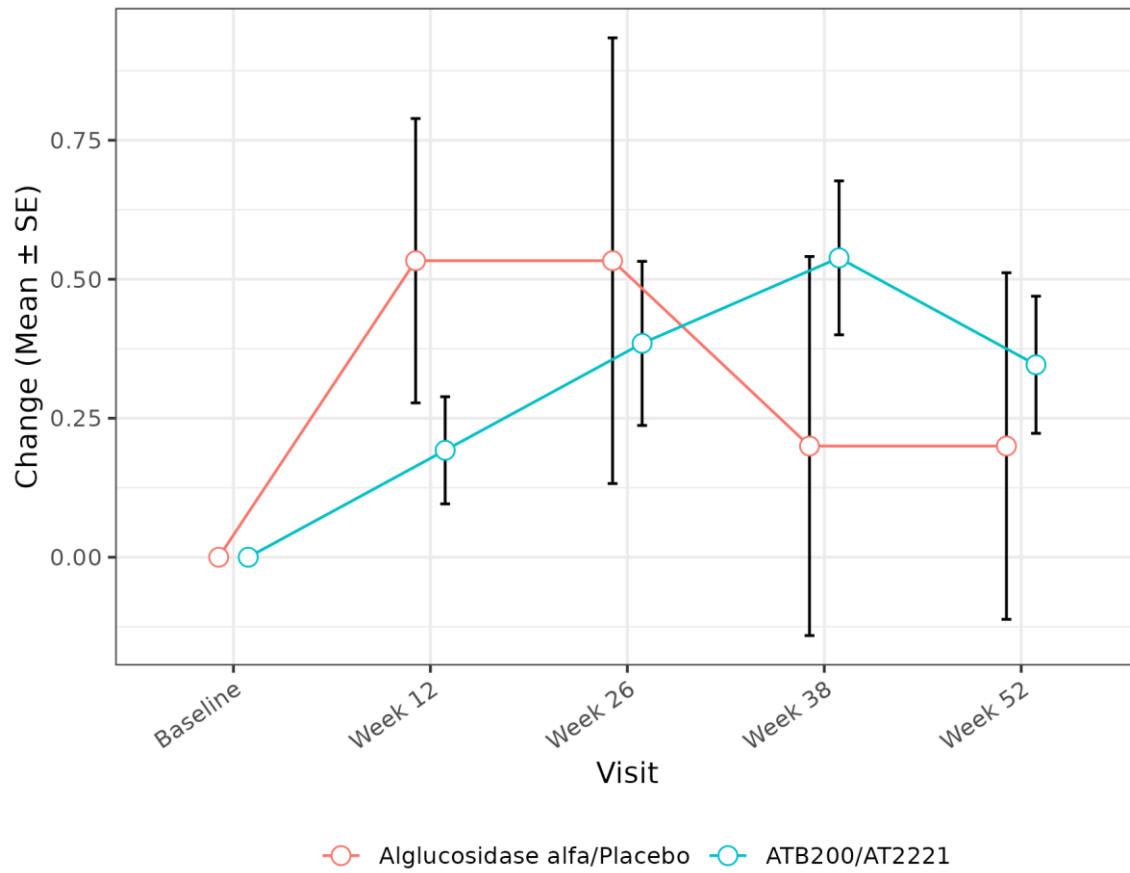
**35.7.1.10.04.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelfunktion  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 03\_2**

35.7.1.10.04 03\_2



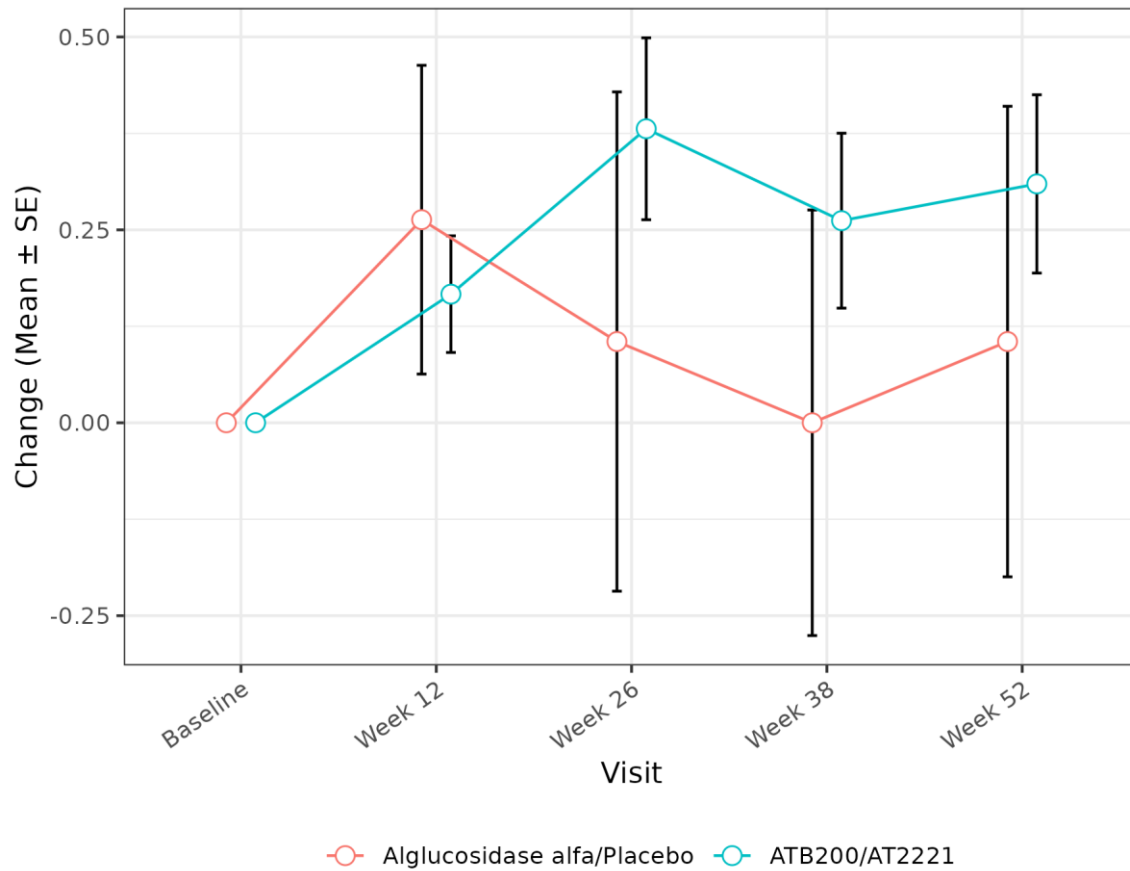
**35.7.1.10.04.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelfunktion  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 03\_3**

35.7.1.10.04 03\_3



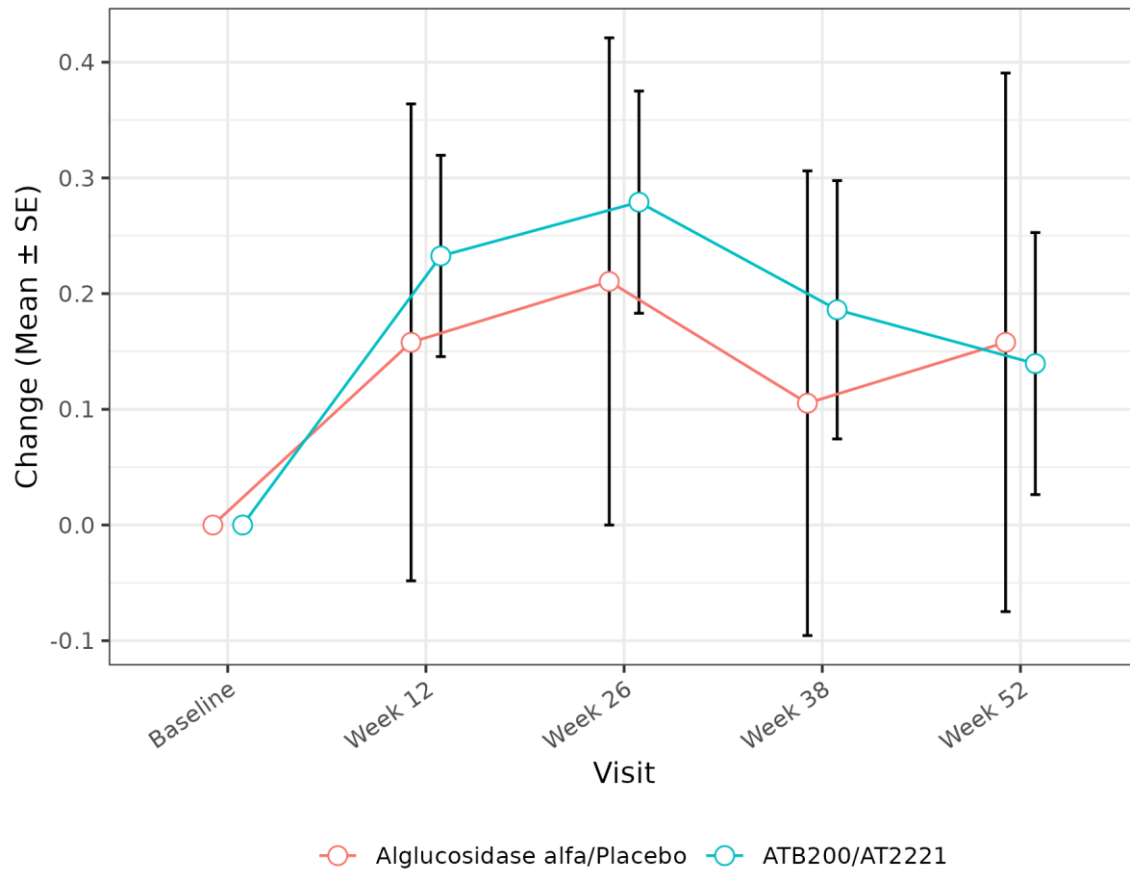
**35.7.1.10.04.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelfunktion  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 07\_1**

35.7.1.10.04 07\_1



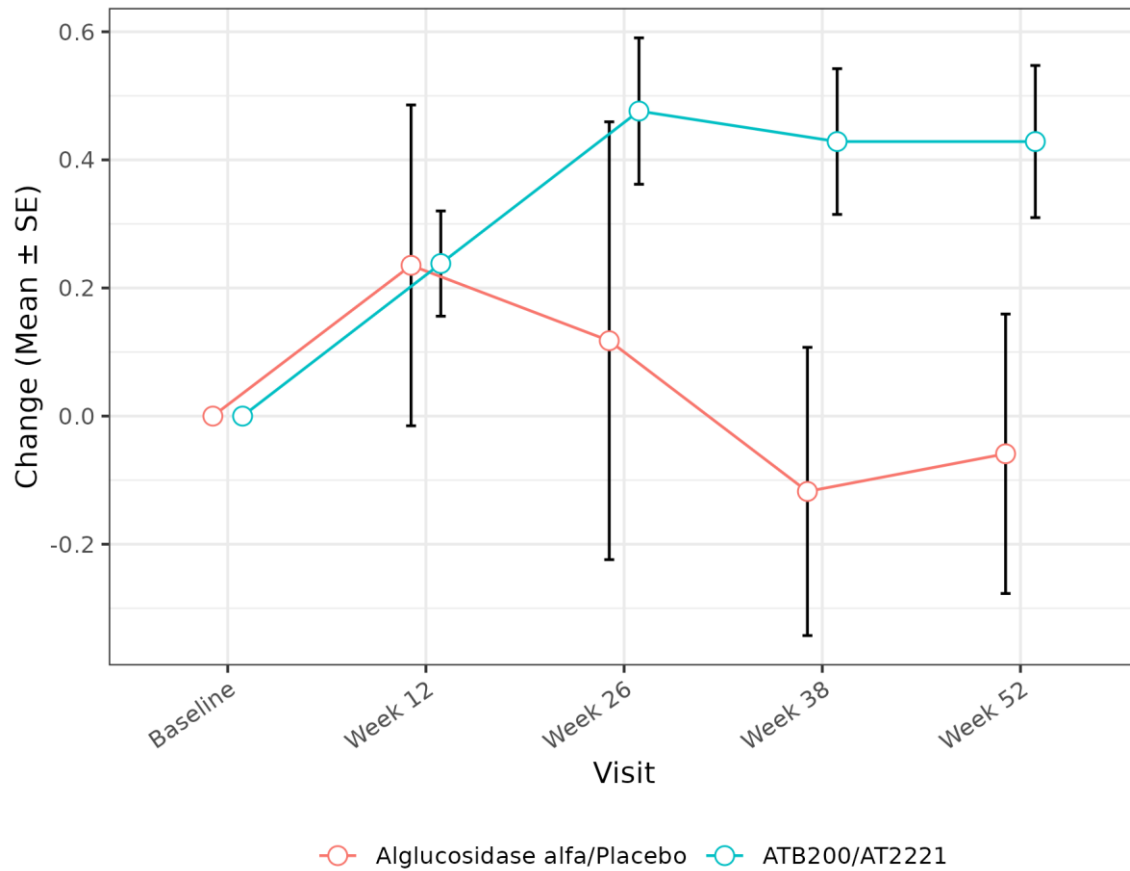
**35.7.1.10.04.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelfunktion  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 07\_2**

35.7.1.10.04 07\_2



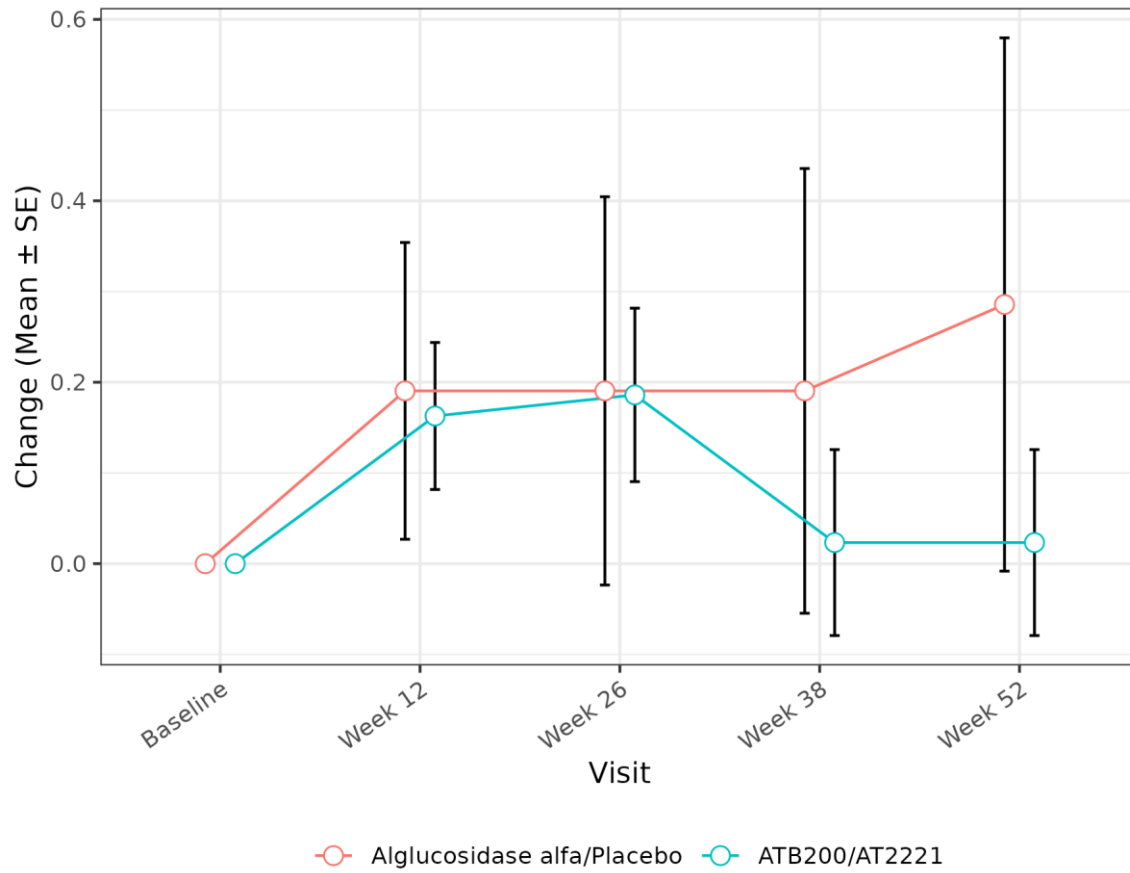
**35.7.1.10.04.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelfunktion  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 08\_1**

35.7.1.10.04 08\_1



**35.7.1.10.04.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelfunktion  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 08\_2**

35.7.1.10.04 08\_2



**35.7.1.10.05.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Fähigkeit, sich zu bewegen****35.7.1.10.05.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Fähigkeit, sich zu bewegen: Analyse**

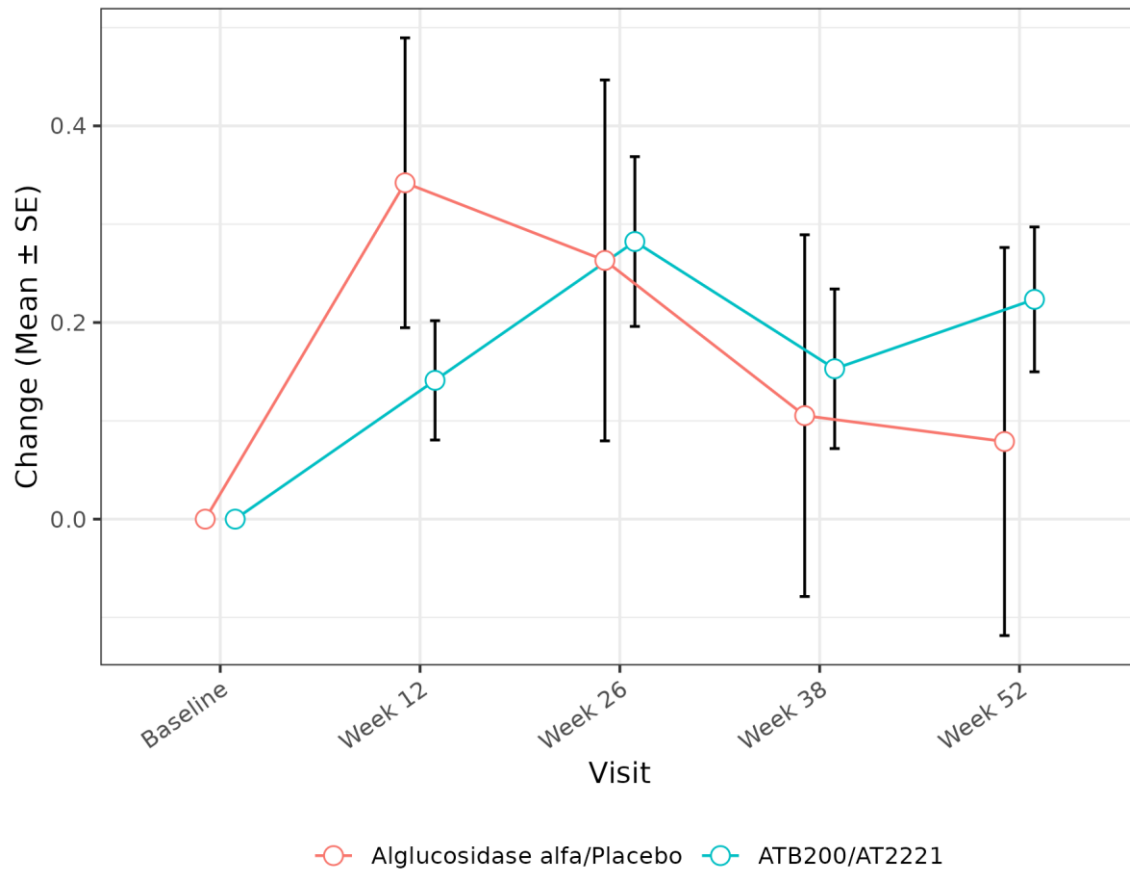
PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>Veränderung des SGIC-Wertes - Fähigkeit, sich zu bewegen</b>			
<b>Änderung zu Woche 12</b>			
n/N (%)	85/85 (100)	38/38 (100)	Hedges' g -0,29 [-0,676; 0,093] 0,1373
MW (SD)	0,14 (0,560)	0,34 (0,909)	
LS MW (SE)	0,15 (0,075)	0,32 (0,114)	LS MD -0,17 [-0,439; 0,108] 0,2340
95 %-KI	0,003; 0,301	0,092; 0,543	
<b>Änderung zu Woche 26</b>			
n/N (%)	85/85 (100)	38/38 (100)	Hedges' g 0,02 [-0,362; 0,403] 0,9146
MW (SD)	0,28 (0,796)	0,26 (1,131)	
LS MW (SE)	0,30 (0,099)	0,22 (0,150)	LS MD 0,09 [-0,275; 0,449] 0,6359
95 %-KI	0,107; 0,500	-0,081; 0,514	
<b>Änderung zu Woche 38</b>			
n/N (%)	85/85 (100)	38/38 (100)	Hedges' g 0,05 [-0,329; 0,436] 0,7836
MW (SD)	0,15 (0,748)	0,11 (1,134)	
LS MW (SE)	0,15 (0,095)	0,10 (0,143)	LS MD 0,05 [-0,294; 0,396] 0,7705
95 %-KI	-0,034; 0,341	-0,181; 0,387	
<b>Änderung zu Woche 52</b>			
n/N (%)	85/85 (100)	38/38 (100)	Hedges' g 0,16
MW (SD)	0,22 (0,679)	0,08 (1,217)	



<b>PROPEL ITT</b>	<b>Behandlungsarm</b>		<b>Effektmaß [95 %-KI] p-Wert</b>
	<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Algluco- sidade alfa/Placebo</b>	
<b>N</b>	<b>85</b>	<b>38</b>	-
			[-0,220; 0,546] 0,4030
LS MW (SE)	0,22 (0,095)	0,09 (0,144)	LS MD 0,13
95 %-KI	0,030; 0,406	-0,194; 0,376	[-0,219; 0,473] 0,4679
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

**35.7.1.10.05.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Fähigkeit, sich zu bewegen  
Mittelwertveränderungsplot**

35.7.1.10.05



**35.7.1.10.05.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Fähigkeit, sich zu bewegen: Interaktionstest**

<b>Veränderung des SGIC-Wertes - Fähigkeit, sich zu bewegen: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	0,8584
02	0,5388
03	0,0198
04	< 0,0001
05	0,1537
06	0,1367
07	0,9957
08	0,0767
09	0,0026
10	0,0172

*Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.*

*In dem Interaktionstest bei Subgruppe 09 ERT-Dauer wird die Variable ERT-Status aus dem Model entfernt, da es keine Dauer der ERT Behandlung für ERT naive Patienten gibt*

### 35.7.1.10.05.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Fähigkeit, sich zu bewegen: Subgruppenanalyse

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
<b>Veränderung des SGIC-Wertes - Fähigkeit, sich zu bewegen</b>			
Änderung zu Woche 12			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	36/36 (100)	20/20 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,06 (0,410)	0,30 (0,801)	-0,42 [-0,969; 0,136]
LS MW (SE)	0,07 (0,101)	0,27 (0,138)	LS MD
95 %-KI	-0,131; 0,276	-0,008; 0,547	-0,20 [-0,549; 0,156] 0,2676
2			
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,20 (0,645)	0,39 (1,037)	-0,24 [-0,780; 0,304]
LS MW (SE)	0,23 (0,111)	0,33 (0,187)	LS MD
95 %-KI	0,005; 0,448	-0,045; 0,703	-0,10 [-0,546; 0,340] 0,6443
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,31 (0,704)	0,27 (0,647)	0,06 [-0,711; 0,824]
LS MW (SE)	0,25 (0,180)	0,37 (0,222)	LS MD
95 %-KI	-0,128; 0,624	-0,097; 0,831	-0,12 [-0,751; 0,512] 0,6982

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipaglusosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,09 (0,570)	0,00 (0,426)	0,17 [-0,472; 0,810]
LS MW (SE)	0,09 (0,083)	0,02 (0,158)	LS MD
95 %-KI	-0,079; 0,254	-0,298; 0,336	0,07 [-0,290; 0,428] 0,7012
3			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,12 (0,431)	0,67 (1,234)	-0,66 [-1,315; -0,009]
LS MW (SE)	0,15 (0,172)	0,61 (0,230)	LS MD
95 %-KI	-0,203; 0,494	0,147; 1,082	-0,47 [-1,070; 0,132] 0,1223
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,19 (0,594)	0,37 (0,955)	-0,24 [-0,786; 0,301]
LS MW (SE)	0,21 (0,114)	0,33 (0,174)	LS MD
95 %-KI	-0,022; 0,436	-0,017; 0,680	-0,12 [-0,551; 0,304] 0,5643
2			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,09 (0,526)	0,32 (0,885)	-0,34 [-0,879; 0,207]
LS MW (SE)	0,11 (0,098)	0,28 (0,148)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
95 %-KI	-0,087; 0,304	-0,015; 0,577	-0,17 [-0,531; 0,186] 0,3387
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,21 (0,606)	0,35 (0,931)	-0,19 [-0,757; 0,373]
LS MW (SE)	0,22 (0,114)	0,33 (0,182)	LS MD
95 %-KI	-0,007; 0,452	-0,032; 0,697	-0,11 [-0,545; 0,326] 0,6163
2			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,07 (0,507)	0,33 (0,913)	-0,39 [-0,918; 0,135]
LS MW (SE)	0,08 (0,103)	0,32 (0,150)	LS MD
95 %-KI	-0,130; 0,283	0,019; 0,620	-0,24 [-0,616; 0,130] 0,1975
Änderung zu Woche 26			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	36/36 (100)	20/20 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,19 (0,710)	0,20 (0,894)	-0,01 [-0,554; 0,540]
LS MW (SE)	0,22 (0,134)	0,15 (0,183)	LS MD
95 %-KI	-0,048; 0,490	-0,214; 0,519	0,07 [-0,398; 0,534] 0,7698
2			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,35 (0,855)	0,33 (1,372)	0,01 [-0,527; 0,553]
LS MW (SE)	0,36 (0,147)	0,31 (0,247)	LS MD
95 %-KI	0,064; 0,650	-0,188; 0,801	0,05 [-0,536; 0,636] 0,8640
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,25 (0,775)	0,09 (0,944)	0,18 [-0,587; 0,952]
LS MW (SE)	0,21 (0,238)	0,14 (0,293)	LS MD
95 %-KI	-0,281; 0,710	-0,469; 0,754	0,07 [-0,761; 0,905] 0,8589
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,16 (0,843)	-0,17 (0,577)	0,41 [-0,236; 1,053]
LS MW (SE)	0,17 (0,123)	-0,19 (0,234)	LS MD
95 %-KI	-0,078; 0,417	-0,661; 0,280	0,36 [-0,173; 0,893] 0,1806
3			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,50 (0,707)	0,73 (1,438)	-0,22 [-0,859; 0,415]
LS MW (SE)	0,51 (0,219)	0,72 (0,294)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
95 %-KI	0,064; 0,954	0,121; 1,314	-0,21 [-0,975; 0,559] 0,5857
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,36 (0,932)	0,37 (1,300)	-0,01 [-0,552; 0,531]
LS MW (SE)	0,40 (0,159)	0,28 (0,242)	LS MD
95 %-KI	0,077; 0,715	-0,203; 0,768	0,11 [-0,482; 0,709] 0,7047
2			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,21 (0,638)	0,16 (0,958)	0,07 [-0,472; 0,608]
LS MW (SE)	0,23 (0,117)	0,12 (0,177)	LS MD
95 %-KI	-0,005; 0,462	-0,239; 0,469	0,11 [-0,315; 0,541] 0,5985
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,43 (0,801)	0,29 (1,263)	0,14 [-0,425; 0,703]
LS MW (SE)	0,43 (0,151)	0,30 (0,240)	LS MD
95 %-KI	0,123; 0,728	-0,180; 0,782	0,12 [-0,449; 0,699] 0,6640
2			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	Hedges' g



PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
MW (SD)	0,14 (0,774)	0,24 (1,044)	-0,11 [-0,634; 0,410]
LS MW (SE)	0,18 (0,130)	0,15 (0,190)	LS MD
95 %-KI	-0,079; 0,443	-0,229; 0,532	0,03 [-0,441; 0,503] 0,8968
Änderung zu Woche 38			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	36/36 (100)	20/20 (100)	Hedges' g
MW (SD)	-0,14 (0,593)	0,00 (0,795)	-0,20 [-0,752; 0,344]
LS MW (SE)	-0,12 (0,116)	-0,03 (0,158)	LS MD
95 %-KI	-0,357; 0,109	-0,344; 0,291	-0,10 [-0,502; 0,306] 0,6291
2			
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,37 (0,782)	0,22 (1,437)	0,14 [-0,397; 0,685]
LS MW (SE)	0,37 (0,146)	0,22 (0,246)	LS MD
95 %-KI	0,076; 0,659	-0,271; 0,714	0,15 [-0,437; 0,729] 0,6182
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,12 (0,619)	0,09 (1,221)	0,04 [-0,731; 0,804]
LS MW (SE)	0,03 (0,256)	0,23 (0,316)	LS MD

Medizinischer Nutzen, medizinischer Zusatznutzen, Patientengruppen mit therap. bedeutsamem Zusatznutzen

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Algluco- sidade alfa/Placebo	
95 %-KI	-0,506; 0,561	-0,426; 0,891	-0,21 [-1,102; 0,692] 0,6385
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,09 (0,781)	-0,25 (0,622)	0,45 [-0,195; 1,096]
LS MW (SE)	0,10 (0,112)	-0,26 (0,213)	LS MD
95 %-KI	-0,128; 0,322	-0,692; 0,164	0,36 [-0,124; 0,846] 0,1409
3			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,27 (0,778)	0,40 (1,352)	-0,13 [-0,762; 0,511]
LS MW (SE)	0,29 (0,206)	0,36 (0,276)	LS MD
95 %-KI	-0,124; 0,713	-0,205; 0,917	-0,06 [-0,783; 0,660] 0,8644
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,19 (0,773)	0,05 (1,393)	0,14 [-0,407; 0,678]
LS MW (SE)	0,20 (0,149)	0,03 (0,226)	LS MD
95 %-KI	-0,099; 0,497	-0,419; 0,488	0,16 [-0,392; 0,720] 0,5564
2			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	Hedges' g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
MW (SD)	0,12 (0,731)	0,16 (0,834)	-0,05 [-0,594; 0,486]
LS MW (SE)	0,12 (0,117)	0,15 (0,177)	LS MD
95 %-KI	-0,112; 0,356	-0,210; 0,500	-0,02 [-0,453; 0,405] 0,9124
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,26 (0,798)	0,00 (1,061)	0,29 [-0,272; 0,860]
LS MW (SE)	0,24 (0,133)	0,05 (0,212)	LS MD
95 %-KI	-0,024; 0,511	-0,379; 0,470	0,20 [-0,309; 0,705] 0,4360
2			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,05 (0,688)	0,19 (1,209)	-0,16 [-0,682; 0,363]
LS MW (SE)	0,06 (0,131)	0,17 (0,191)	LS MD
95 %-KI	-0,206; 0,320	-0,214; 0,552	-0,11 [-0,587; 0,364] 0,6397
Änderung zu Woche 52			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	36/36 (100)	20/20 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,08 (0,554)	-0,05 (1,099)	0,17 [-0,381; 0,714]
LS MW (SE)	0,12 (0,132)	-0,11 (0,180)	LS MD

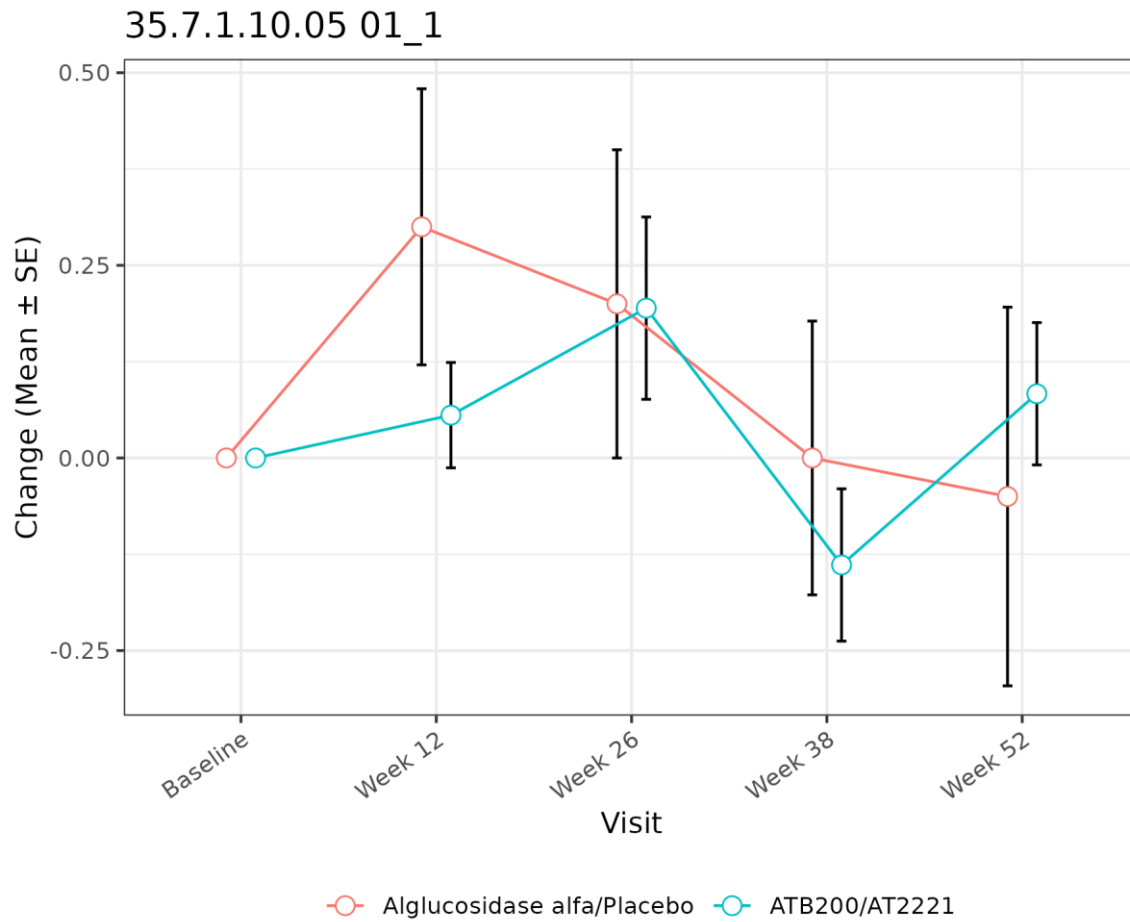
PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
95 %-KI	-0,149; 0,382	-0,471; 0,252	0,23 [-0,233; 0,686] 0,3271
2			
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,33 (0,747)	0,22 (1,353)	0,11 [-0,431; 0,650]
LS MW (SE)	0,30 (0,137)	0,29 (0,231)	LS MD
95 %-KI	0,026; 0,575	-0,169; 0,756	0,01 [-0,541; 0,555] 0,9793
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,25 (0,775)	0,00 (1,095)	0,26 [-0,507; 1,036]
LS MW (SE)	0,15 (0,258)	0,15 (0,319)	LS MD
95 %-KI	-0,390; 0,687	-0,517; 0,813	0,00 [-0,904; 0,905] 0,9992
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,19 (0,732)	-0,17 (1,030)	0,43 [-0,212; 1,078]
LS MW (SE)	0,19 (0,115)	-0,19 (0,218)	LS MD
95 %-KI	-0,038; 0,423	-0,630; 0,248	0,38 [-0,113; 0,881] 0,1270
3			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges' g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
MW (SD)	0,27 (0,533)	0,33 (1,447)	-0,07 [-0,701; 0,571]
LS MW (SE)	0,26 (0,205)	0,35 (0,275)	LS MD
95 %-KI	-0,158; 0,675	-0,206; 0,910	-0,09 [-0,811; 0,624] 0,7928
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,26 (0,734)	0,05 (1,311)	0,22 [-0,326; 0,761]
LS MW (SE)	0,27 (0,142)	0,03 (0,216)	LS MD
95 %-KI	-0,014; 0,554	-0,397; 0,467	0,24 [-0,296; 0,766] 0,3784
2			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,19 (0,627)	0,11 (1,150)	0,10 [-0,443; 0,638]
LS MW (SE)	0,18 (0,126)	0,11 (0,190)	LS MD
95 %-KI	-0,067; 0,436	-0,273; 0,490	0,08 [-0,385; 0,537] 0,7432
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,36 (0,727)	0,00 (1,225)	0,39 [-0,174; 0,962]
LS MW (SE)	0,34 (0,139)	0,05 (0,220)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
95 %-KI	0,057; 0,613	-0,388; 0,496	0,28 [-0,247; 0,809] 0,2901
2			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,09 (0,610)	0,14 (1,236)	-0,06 [-0,579; 0,465]
LS MW (SE)	0,09 (0,129)	0,15 (0,187)	LS MD
95 %-KI	-0,170; 0,345	-0,221; 0,529	-0,07 [-0,532; 0,399] 0,7772
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

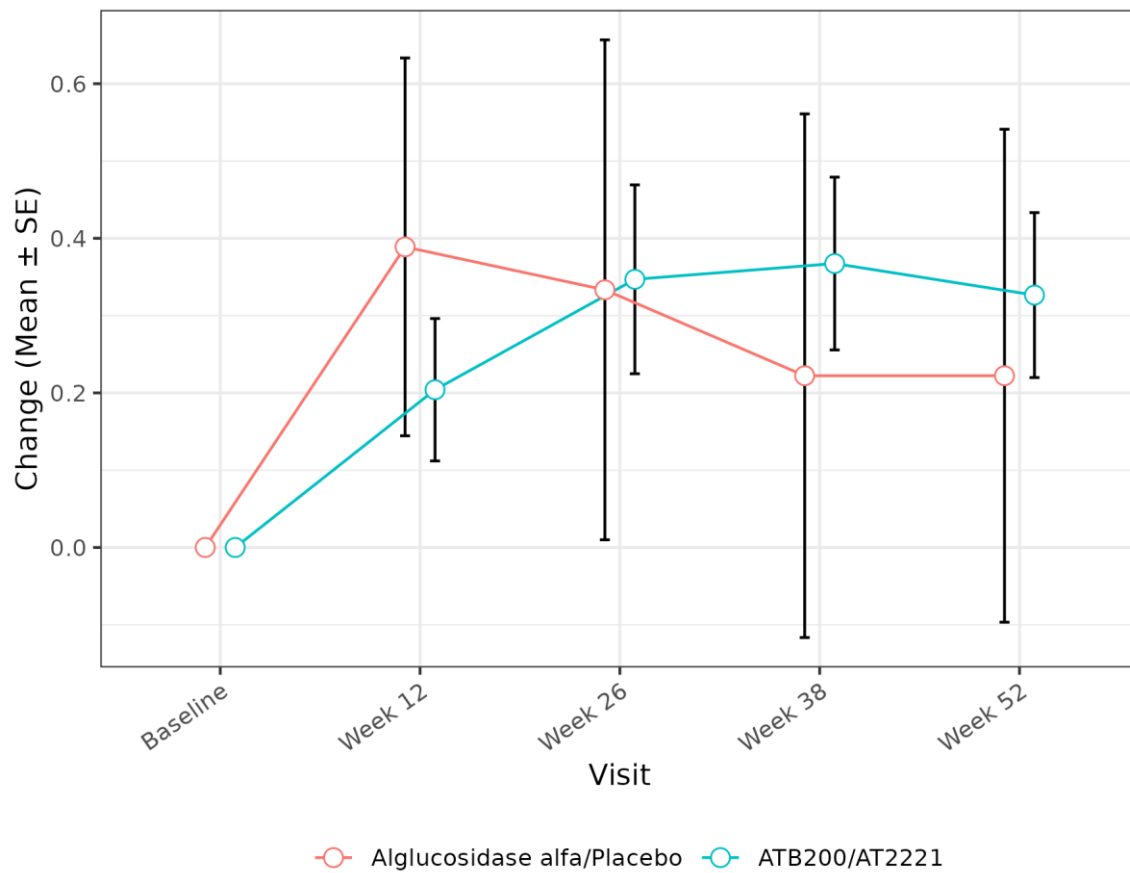
**35.7.1.10.05.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Fähigkeit, sich zu bewegen: Mittelwertveränderungsplots der Subgruppen**

**35.7.1.10.05.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Fähigkeit, sich zu bewegen Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 01\_1**



**35.7.1.10.05.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Fähigkeit, sich zu bewegen  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 01\_2**

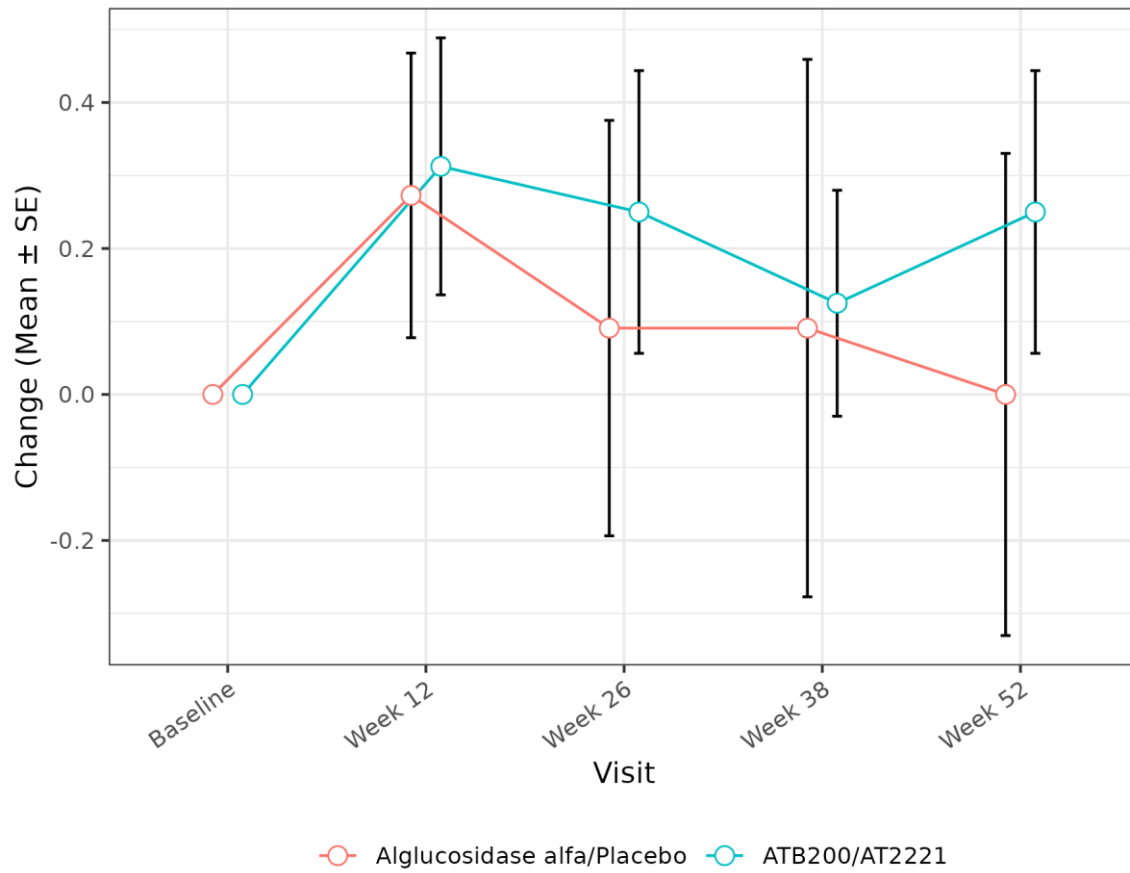
35.7.1.10.05 01\_2

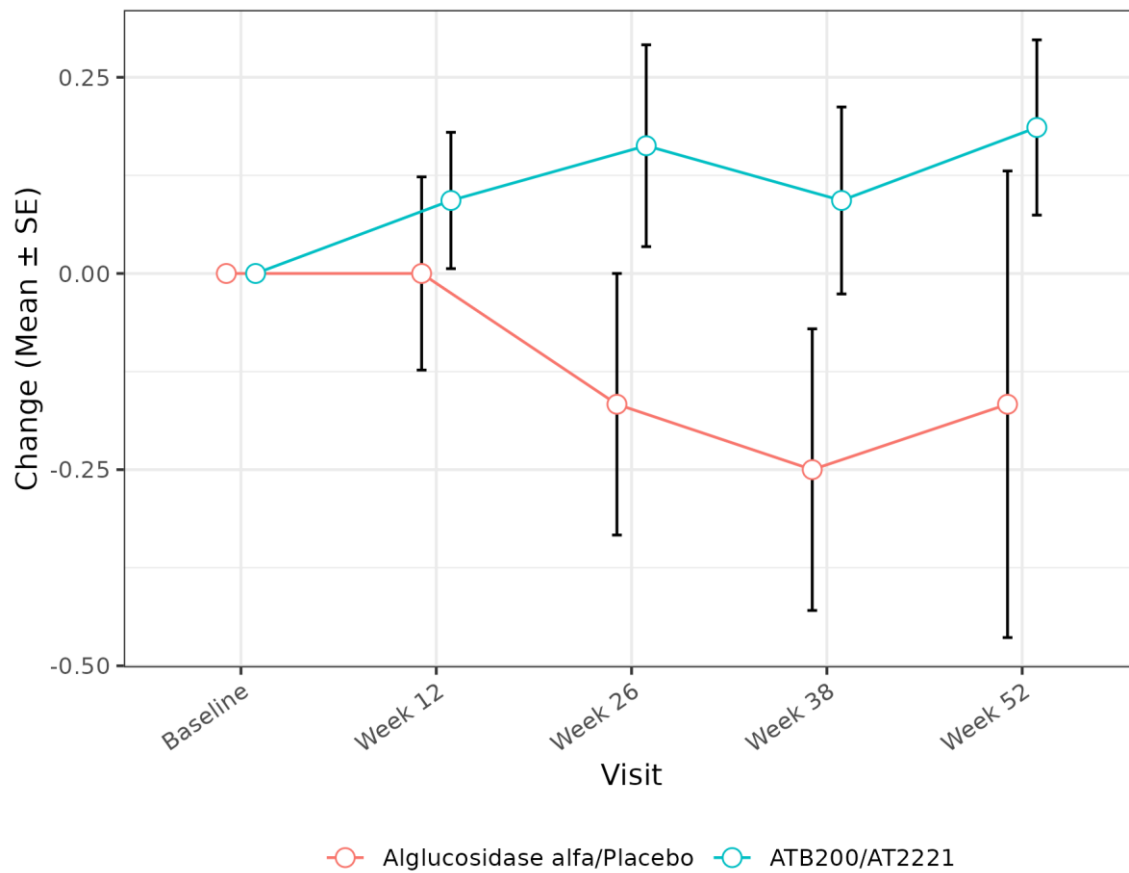


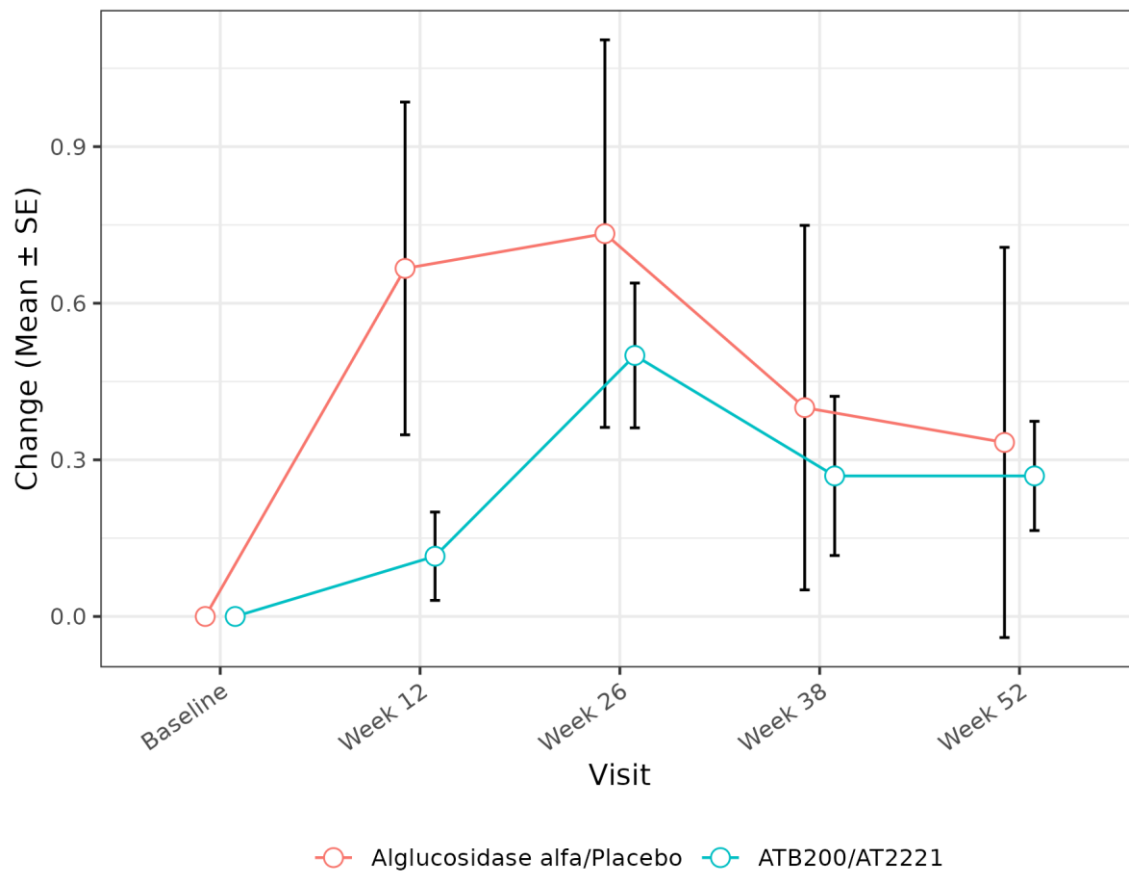


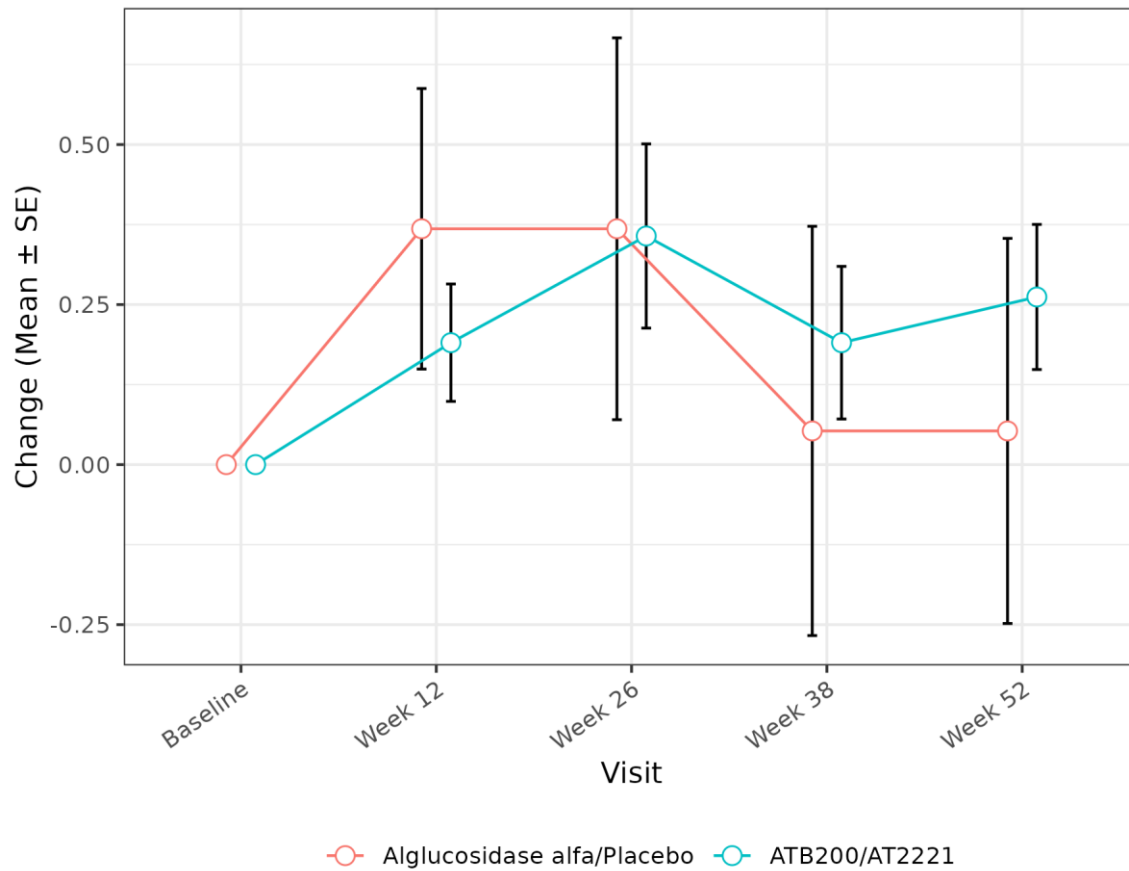
**35.7.1.10.05.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Fähigkeit, sich zu bewegen  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 03\_1**

35.7.1.10.05 03\_1



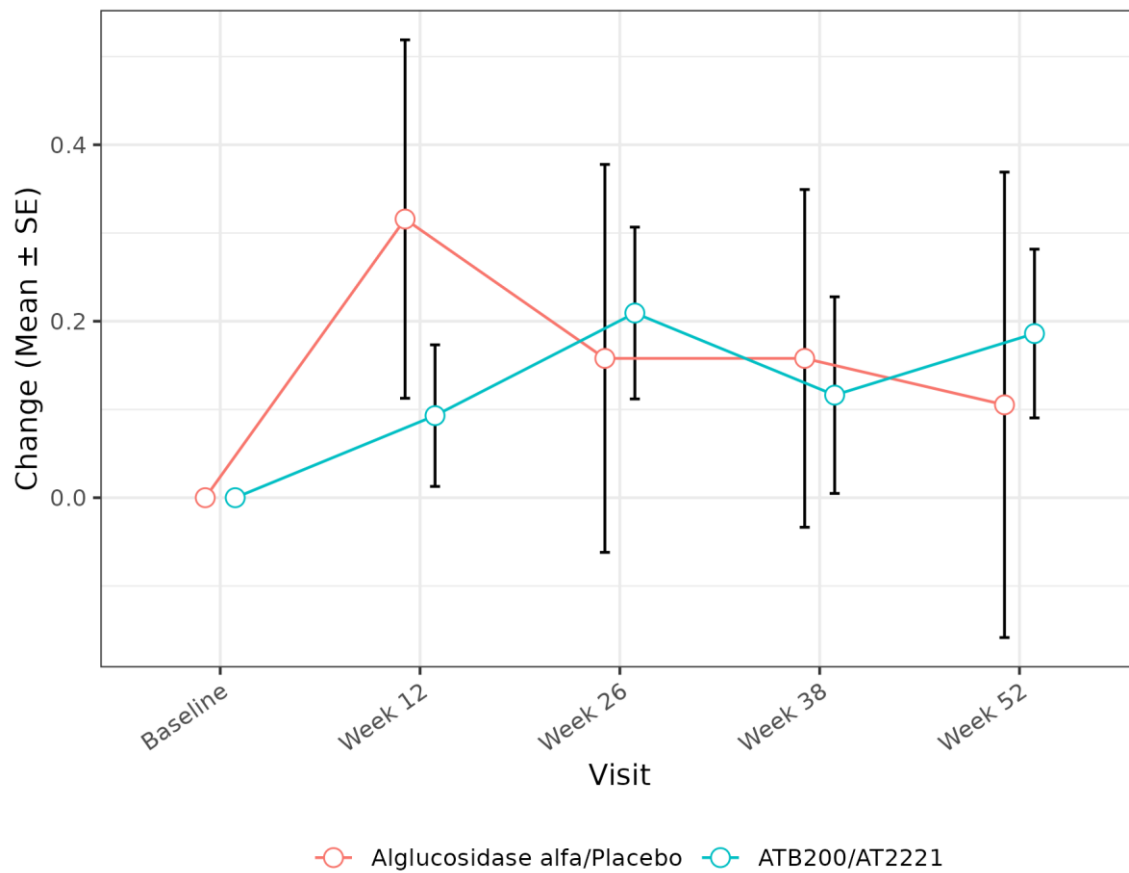
**35.7.1.10.05.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Fähigkeit, sich zu bewegen  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 03\_2****35.7.1.10.05 03\_2**

**35.7.1.10.05.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Fähigkeit, sich zu bewegen  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 03\_3****35.7.1.10.05 03\_3**

**35.7.1.10.05.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Fähigkeit, sich zu bewegen  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 07\_1****35.7.1.10.05 07\_1**

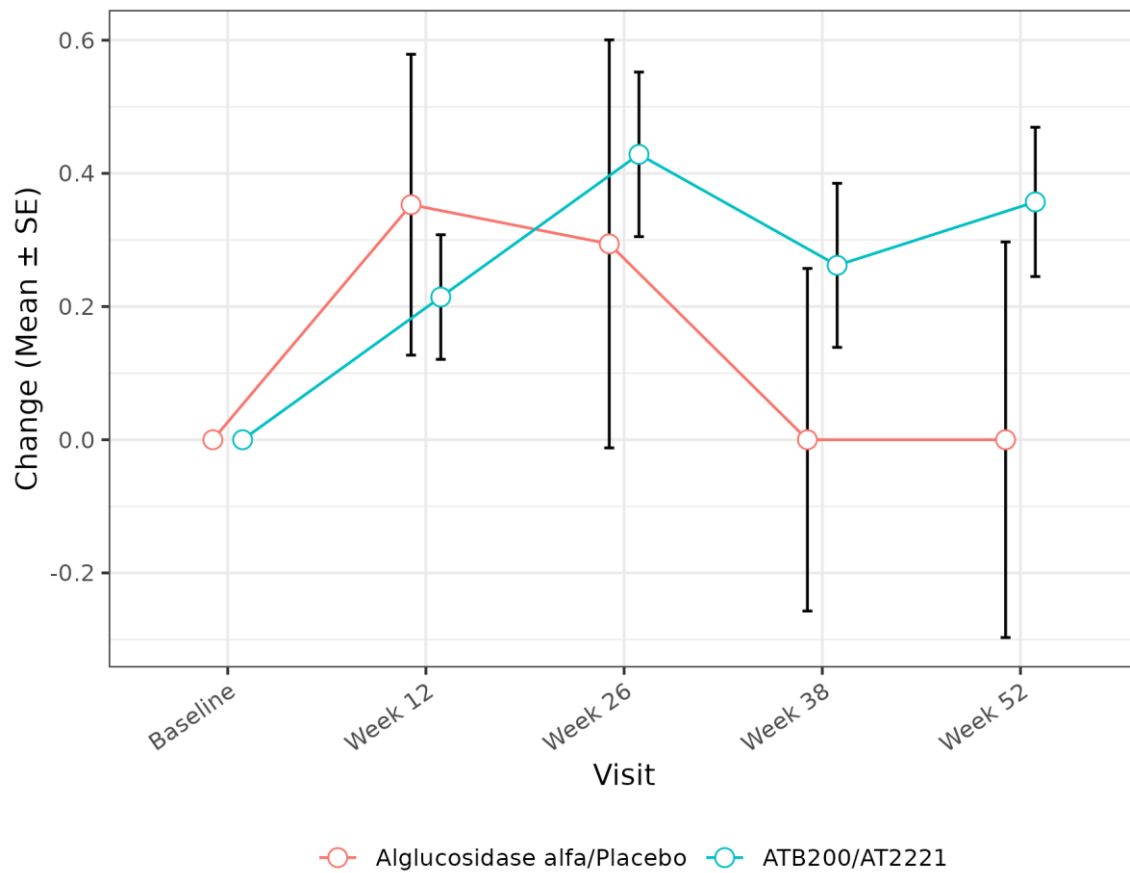
**35.7.1.10.05.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Fähigkeit, sich zu bewegen  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 07\_2**

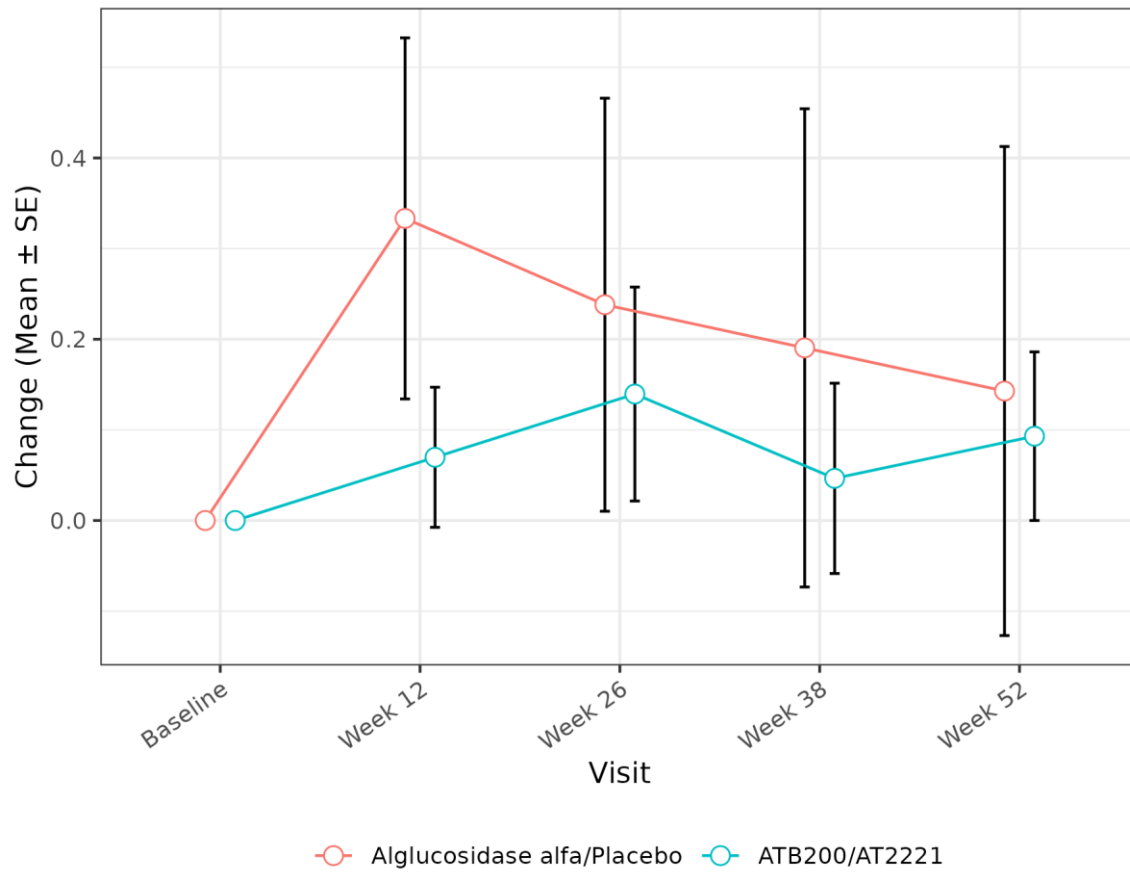
## 35.7.1.10.05 07\_2



**35.7.1.10.05.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Fähigkeit, sich zu bewegen  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 08\_1**

35.7.1.10.05 08\_1



**35.7.1.10.05.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Fähigkeit, sich zu bewegen  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 08\_2****35.7.1.10.05 08\_2**

**35.7.1.10.06.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Aktivitäten des täglichen Lebens****35.7.1.10.06.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Aktivitäten des täglichen Lebens: Analyse**

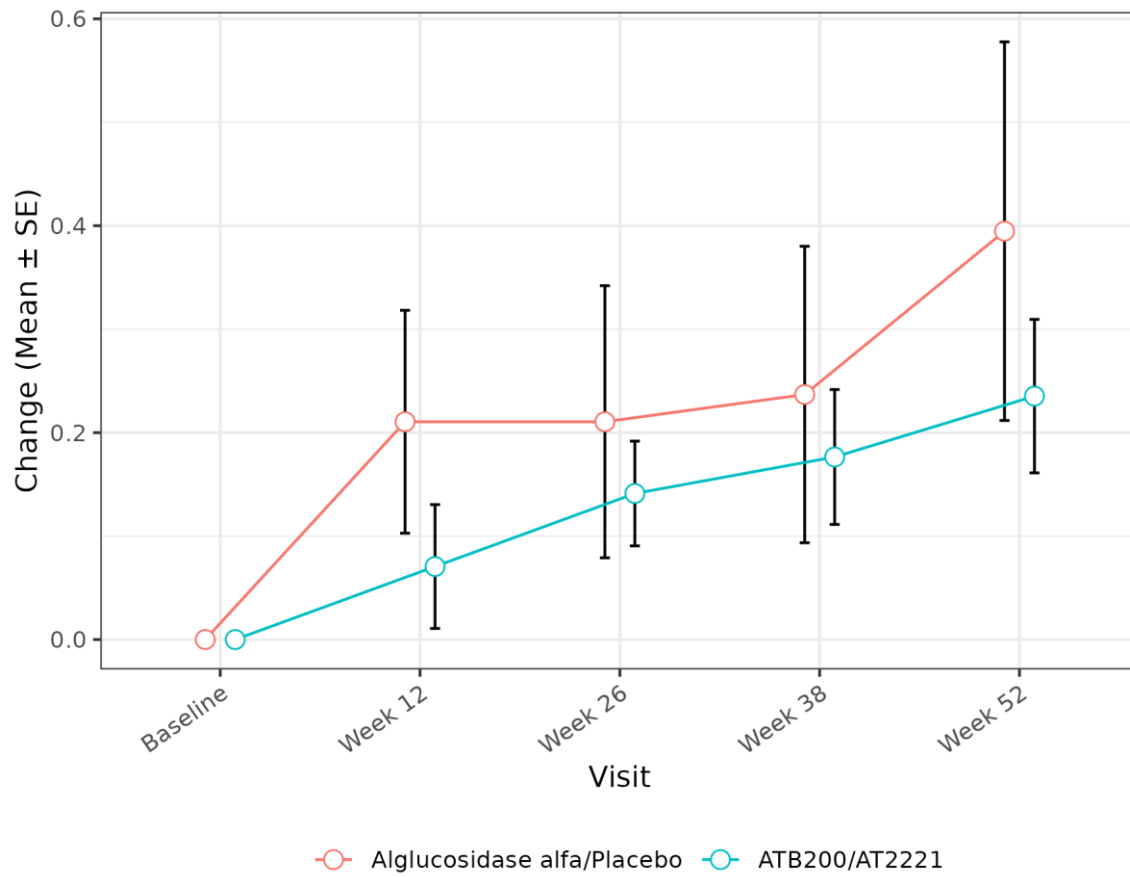
PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>Veränderung des SGIC-Wertes - Aktivitäten des täglichen Lebens</b>			
<b>Änderung zu Woche 12</b>			
n/N (%)	85/85 (100)	38/38 (100)	Hedges' g -0,24 [-0,620; 0,147] 0,2273
MW (SD)	0,07 (0,552)	0,21 (0,664)	
LS MW (SE)	0,08 (0,064)	0,18 (0,097)	LS MD -0,10 [-0,332; 0,133] 0,3988
95 %-KI	-0,043; 0,209	-0,009; 0,374	
<b>Änderung zu Woche 26</b>			
n/N (%)	85/85 (100)	38/38 (100)	Hedges' g -0,12 [-0,499; 0,267] 0,5521
MW (SD)	0,14 (0,467)	0,21 (0,811)	
LS MW (SE)	0,15 (0,064)	0,18 (0,097)	LS MD -0,03 [-0,264; 0,201] 0,7895
95 %-KI	0,027; 0,279	-0,007; 0,376	
<b>Änderung zu Woche 38</b>			
n/N (%)	85/85 (100)	38/38 (100)	Hedges' g -0,09 [-0,468; 0,297] 0,6605
MW (SD)	0,18 (0,601)	0,24 (0,883)	
LS MW (SE)	0,19 (0,075)	0,21 (0,114)	LS MD -0,02 [-0,297; 0,252] 0,8712
95 %-KI	0,039; 0,337	-0,015; 0,436	
<b>Änderung zu Woche 52</b>			
n/N (%)	85/85 (100)	38/38 (100)	



PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
MW (SD)	0,24 (0,684)	0,39 (1,128)	Hedges' g -0,19 [-0,571; 0,196] 0,3375
LS MW (SE)	0,23 (0,092)	0,41 (0,140)	LS MD -0,19 [-0,523; 0,150] 0,2750
95 %-KI	0,044; 0,410	0,136; 0,691	
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

**35.7.1.10.06.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Aktivitäten des täglichen Lebens  
Mittelwertveränderungsplot**

35.7.1.10.06



**35.7.1.10.06.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Aktivitäten des täglichen Lebens: Interaktionstest**

<b>Veränderung des SGIC-Wertes - Aktivitäten des täglichen Lebens: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	0,0980
02	0,4576
03	0,0447
04	0,0084
05	0,0631
06	0,4911
07	0,2999
08	0,0003
09	0,2490
10	0,0001
<p><i>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i></p> <p><i>In dem Interaktionstest bei Subgruppe 09 ERT-Dauer wird die Variable ERT-Status aus dem Model entfernt, da es keine Dauer der ERT Behandlung für ERT naive Patienten gibt</i></p>	

### 35.7.1.10.06.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Aktivitäten des täglichen Lebens: Subgruppenanalyse

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
<b>Veränderung des SGIC-Wertes - Aktivitäten des täglichen Lebens</b>			
Änderung zu Woche 12			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	36/36 (100)	20/20 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,08 (0,439)	0,10 (0,447)	-0,04 [-0,584; 0,509]
LS MW (SE)	0,12 (0,070)	0,04 (0,096)	LS MD
95 %-KI	-0,022; 0,260	-0,156; 0,228	0,08 [-0,161; 0,327] 0,4955
2			
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,06 (0,626)	0,33 (0,840)	-0,39 [-0,935; 0,154]
LS MW (SE)	0,08 (0,097)	0,29 (0,164)	LS MD
95 %-KI	-0,117; 0,272	-0,039; 0,617	-0,21 [-0,600; 0,177] 0,2797
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,12 (0,342)	0,00 (0,447)	0,31 [-0,460; 1,086]
LS MW (SE)	0,09 (0,110)	0,05 (0,136)	LS MD
95 %-KI	-0,137; 0,321	-0,235; 0,331	0,04 [-0,341; 0,429] 0,8130

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipaglusosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,00 (0,655)	0,08 (0,515)	-0,13 [-0,771; 0,510]
LS MW (SE)	0,00 (0,099)	0,07 (0,188)	LS MD
95 %-KI	-0,195; 0,201	-0,305; 0,449	-0,07 [-0,496; 0,359] 0,7478
3			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,15 (0,464)	0,47 (0,834)	-0,49 [-1,138; 0,153]
LS MW (SE)	0,20 (0,125)	0,38 (0,167)	LS MD
95 %-KI	-0,049; 0,458	0,040; 0,719	-0,17 [-0,611; 0,262] 0,4215
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,05 (0,623)	0,32 (0,820)	-0,38 [-0,931; 0,162]
LS MW (SE)	0,07 (0,109)	0,27 (0,165)	LS MD
95 %-KI	-0,148; 0,287	-0,063; 0,598	-0,20 [-0,604; 0,208] 0,3324
2			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,09 (0,479)	0,11 (0,459)	-0,03 [-0,566; 0,514]
LS MW (SE)	0,10 (0,072)	0,08 (0,109)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
95 %-KI	-0,042; 0,246	-0,134; 0,303	0,02 [-0,246; 0,282] 0,8947
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,17 (0,437)	0,12 (0,485)	0,11 [-0,457; 0,671]
LS MW (SE)	0,17 (0,070)	0,12 (0,111)	LS MD
95 %-KI	0,026; 0,306	-0,104; 0,342	0,05 [-0,219; 0,313] 0,7243
2			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	Hedges' g
MW (SD)	-0,02 (0,636)	0,29 (0,784)	-0,44 [-0,972; 0,084]
LS MW (SE)	0,00 (0,107)	0,23 (0,156)	LS MD
95 %-KI	-0,210; 0,217	-0,081; 0,542	-0,23 [-0,614; 0,159] 0,2435
Änderung zu Woche 26			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	36/36 (100)	20/20 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,08 (0,439)	0,00 (0,324)	0,20 [-0,344; 0,752]
LS MW (SE)	0,10 (0,068)	-0,03 (0,093)	LS MD
95 %-KI	-0,038; 0,237	-0,217; 0,158	0,13 [-0,109; 0,367] 0,2821
2			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,18 (0,486)	0,44 (1,097)	-0,37 [-0,913; 0,175]
LS MW (SE)	0,20 (0,099)	0,40 (0,168)	LS MD
95 %-KI	-0,000; 0,398	0,068; 0,739	-0,20 [-0,602; 0,193] 0,3074
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,19 (0,544)	-0,09 (0,701)	0,44 [-0,337; 1,220]
LS MW (SE)	0,15 (0,172)	-0,04 (0,212)	LS MD
95 %-KI	-0,209; 0,508	-0,478; 0,407	0,18 [-0,417; 0,787] 0,5291
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,12 (0,498)	0,08 (0,515)	0,06 [-0,575; 0,705]
LS MW (SE)	0,12 (0,078)	0,07 (0,149)	LS MD
95 %-KI	-0,039; 0,276	-0,226; 0,375	0,04 [-0,296; 0,384] 0,7948
3			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,15 (0,368)	0,53 (0,990)	-0,56 [-1,210; 0,086]
LS MW (SE)	0,20 (0,130)	0,45 (0,174)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
95 %-KI	-0,061; 0,467	0,095; 0,801	-0,25 [-0,699; 0,209] 0,2805
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,19 (0,505)	0,26 (1,046)	-0,10 [-0,643; 0,442]
LS MW (SE)	0,21 (0,111)	0,22 (0,169)	LS MD
95 %-KI	-0,011; 0,435	-0,124; 0,555	-0,00 [-0,420; 0,413] 0,9870
2			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,09 (0,426)	0,16 (0,501)	-0,14 [-0,683; 0,398]
LS MW (SE)	0,10 (0,068)	0,13 (0,104)	LS MD
95 %-KI	-0,032; 0,242	-0,077; 0,339	-0,03 [-0,278; 0,225] 0,8353
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,21 (0,520)	0,06 (0,748)	0,26 [-0,307; 0,824]
LS MW (SE)	0,22 (0,094)	0,05 (0,150)	LS MD
95 %-KI	0,029; 0,407	-0,251; 0,351	0,17 [-0,191; 0,527] 0,3532
2			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	Hedges' g



PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
MW (SD)	0,07 (0,402)	0,33 (0,856)	-0,44 [-0,970; 0,085]
LS MW (SE)	0,09 (0,086)	0,29 (0,126)	LS MD
95 %-KI	-0,081; 0,265	0,036; 0,540	-0,20 [-0,509; 0,116] 0,2136
Änderung zu Woche 38			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	36/36 (100)	20/20 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,08 (0,500)	0,15 (0,587)	-0,12 [-0,671; 0,424]
LS MW (SE)	0,12 (0,088)	0,08 (0,119)	LS MD
95 %-KI	-0,056; 0,296	-0,156; 0,324	0,04 [-0,269; 0,341] 0,8127
2			
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,24 (0,662)	0,33 (1,138)	-0,11 [-0,648; 0,433]
LS MW (SE)	0,24 (0,116)	0,35 (0,196)	LS MD
95 %-KI	0,006; 0,470	-0,039; 0,744	-0,11 [-0,579; 0,350] 0,6231
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,19 (0,403)	0,00 (0,775)	0,31 [-0,460; 1,086]
LS MW (SE)	0,17 (0,160)	0,03 (0,197)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
95 %-KI	-0,167; 0,500	-0,380; 0,443	0,13 [-0,425; 0,695] 0,6211
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,12 (0,586)	0,00 (0,603)	0,19 [-0,447; 0,835]
LS MW (SE)	0,12 (0,091)	-0,01 (0,173)	LS MD
95 %-KI	-0,064; 0,302	-0,357; 0,340	0,13 [-0,268; 0,522] 0,5206
3			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,27 (0,724)	0,60 (1,056)	-0,38 [-1,019; 0,263]
LS MW (SE)	0,31 (0,178)	0,53 (0,238)	LS MD
95 %-KI	-0,053; 0,669	0,050; 1,017	-0,23 [-0,847; 0,396] 0,4662
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,17 (0,490)	0,21 (1,032)	-0,06 [-0,604; 0,480]
LS MW (SE)	0,19 (0,110)	0,17 (0,167)	LS MD
95 %-KI	-0,034; 0,407	-0,169; 0,502	0,02 [-0,391; 0,432] 0,9202
2			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	Hedges' g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
MW (SD)	0,19 (0,699)	0,26 (0,733)	-0,11 [-0,648; 0,433]
LS MW (SE)	0,20 (0,108)	0,24 (0,164)	LS MD
95 %-KI	-0,019; 0,414	-0,091; 0,566	-0,04 [-0,437; 0,356] 0,8396
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,29 (0,708)	0,06 (0,899)	0,29 [-0,274; 0,858]
LS MW (SE)	0,28 (0,115)	0,07 (0,183)	LS MD
95 %-KI	0,049; 0,510	-0,292; 0,441	0,20 [-0,233; 0,642] 0,3527
2			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,07 (0,457)	0,38 (0,865)	-0,50 [-1,026; 0,033]
LS MW (SE)	0,09 (0,090)	0,35 (0,132)	LS MD
95 %-KI	-0,095; 0,267	0,084; 0,612	-0,26 [-0,589; 0,065] 0,1146
Änderung zu Woche 52			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	36/36 (100)	20/20 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,08 (0,604)	0,35 (0,745)	-0,40 [-0,952; 0,152]
LS MW (SE)	0,11 (0,111)	0,30 (0,151)	LS MD

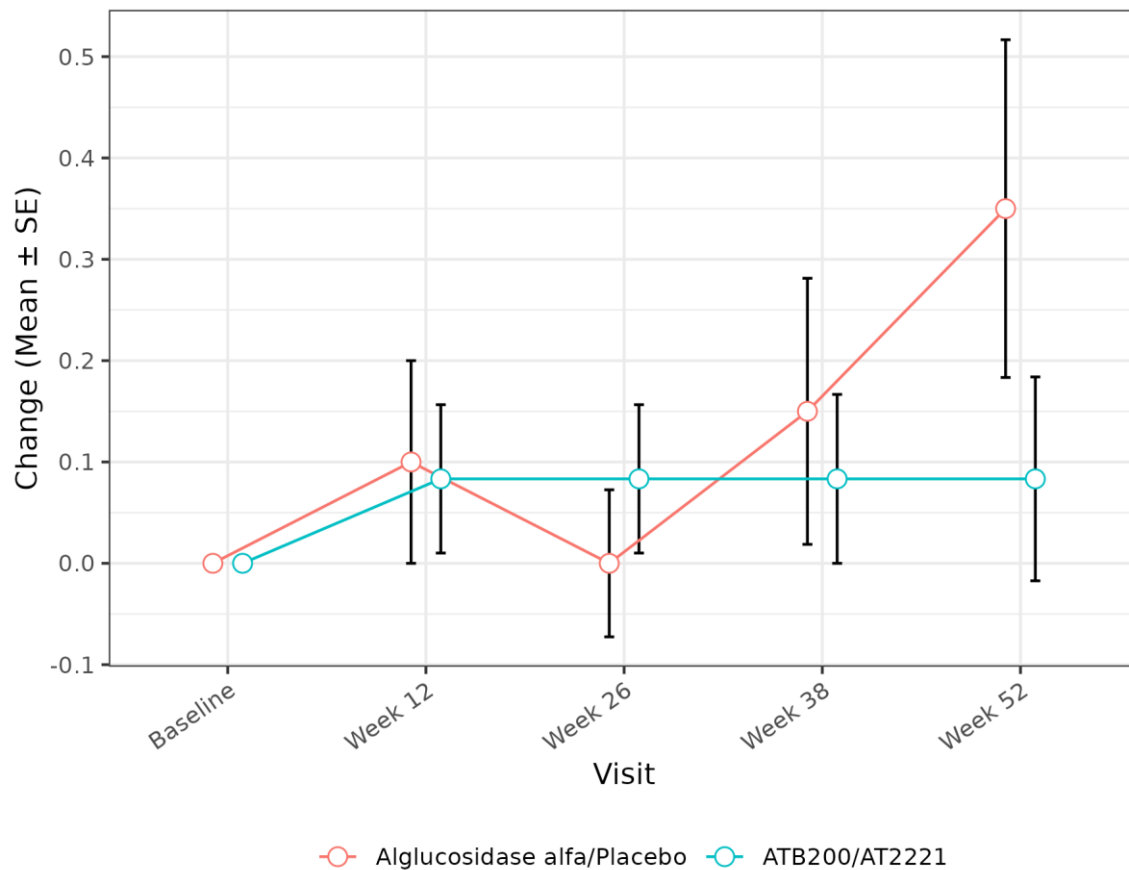
PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
95 %-KI	-0,112; 0,334	-0,004; 0,604	-0,19 [-0,575; 0,198] 0,3309
2			
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,35 (0,723)	0,44 (1,464)	-0,10 [-0,640; 0,441]
LS MW (SE)	0,33 (0,144)	0,50 (0,243)	LS MD
95 %-KI	0,041; 0,616	0,009; 0,981	-0,17 [-0,742; 0,409] 0,5645
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,25 (0,683)	0,27 (1,104)	-0,03 [-0,793; 0,743]
LS MW (SE)	0,22 (0,250)	0,31 (0,309)	LS MD
95 %-KI	-0,299; 0,745	-0,332; 0,957	-0,09 [-0,967; 0,788] 0,8340
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,26 (0,759)	0,33 (1,073)	-0,09 [-0,732; 0,548]
LS MW (SE)	0,26 (0,128)	0,33 (0,244)	LS MD
95 %-KI	-0,000; 0,515	-0,163; 0,818	-0,07 [-0,626; 0,486] 0,8001
3			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges' g

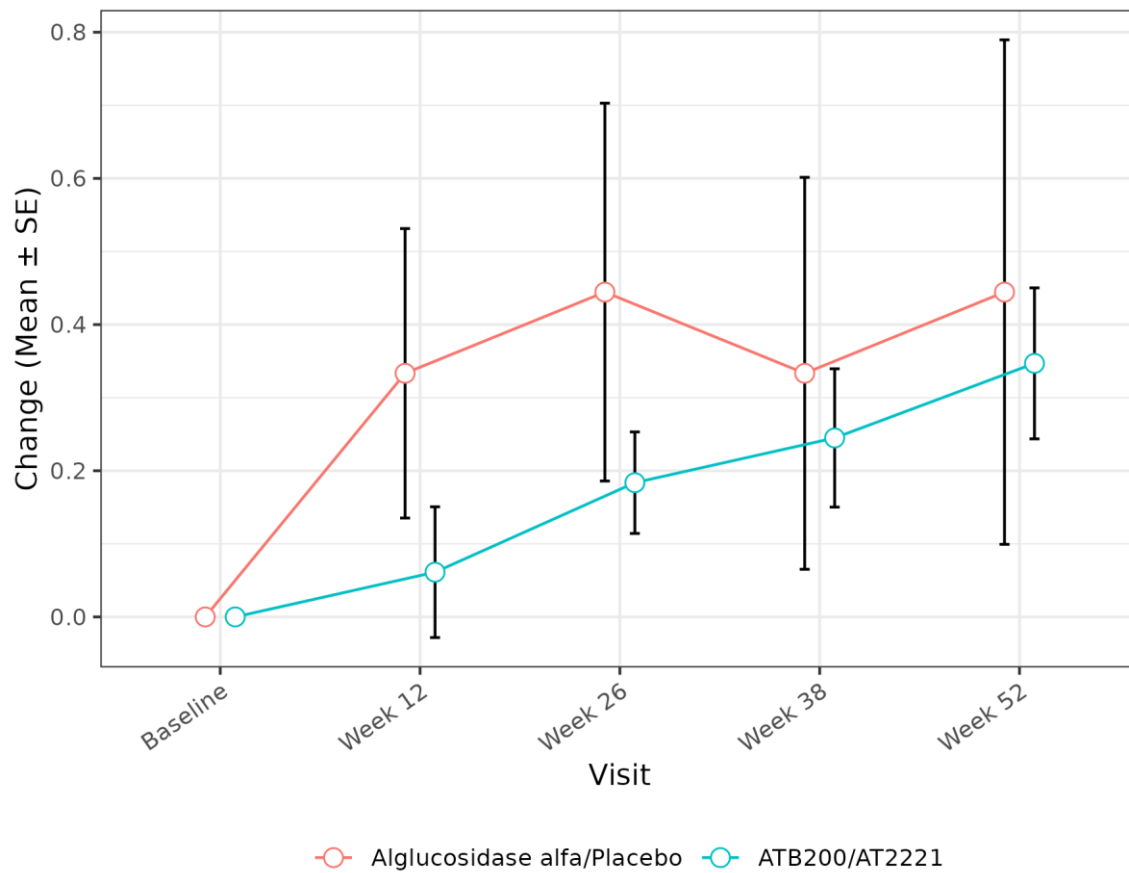
PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
MW (SD)	0,19 (0,567)	0,53 (1,246)	-0,38 [-1,024; 0,259]
LS MW (SE)	0,20 (0,182)	0,52 (0,244)	LS MD
95 %-KI	-0,171; 0,570	0,024; 1,017	-0,32 [-0,959; 0,318] 0,3150
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,24 (0,656)	0,42 (1,346)	-0,20 [-0,739; 0,347]
LS MW (SE)	0,25 (0,141)	0,39 (0,214)	LS MD
95 %-KI	-0,028; 0,536	-0,044; 0,815	-0,13 [-0,658; 0,395] 0,6186
2			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,23 (0,718)	0,37 (0,895)	-0,17 [-0,714; 0,368]
LS MW (SE)	0,22 (0,113)	0,39 (0,172)	LS MD
95 %-KI	-0,004; 0,451	0,044; 0,734	-0,17 [-0,582; 0,252] 0,4309
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,31 (0,715)	0,12 (1,166)	0,22 [-0,346; 0,784]
LS MW (SE)	0,30 (0,133)	0,13 (0,211)	LS MD

<b>PROPEL ITT</b>	<b>Behandlungsarm</b>		<b>Effektmaß [95 %-KI] p-Wert</b>
	<b>Cipaglucosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>	
95 %-KI	0,036; 0,570	-0,291; 0,557	0,17 [-0,336; 0,676] 0,5033
2			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,16 (0,652)	0,62 (1,071)	-0,56 [-1,087; -0,024]
LS MW (SE)	0,13 (0,124)	0,68 (0,181)	LS MD
95 %-KI	-0,117; 0,381	0,319; 1,044	-0,55 [-0,999; -0,100] 0,0176
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

**35.7.1.10.06.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Aktivitäten des täglichen Lebens: Mittelwertveränderungsplots der Subgruppen****35.7.1.10.06.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Aktivitäten des täglichen Lebens Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 01\_1**

35.7.1.10.06 01\_1

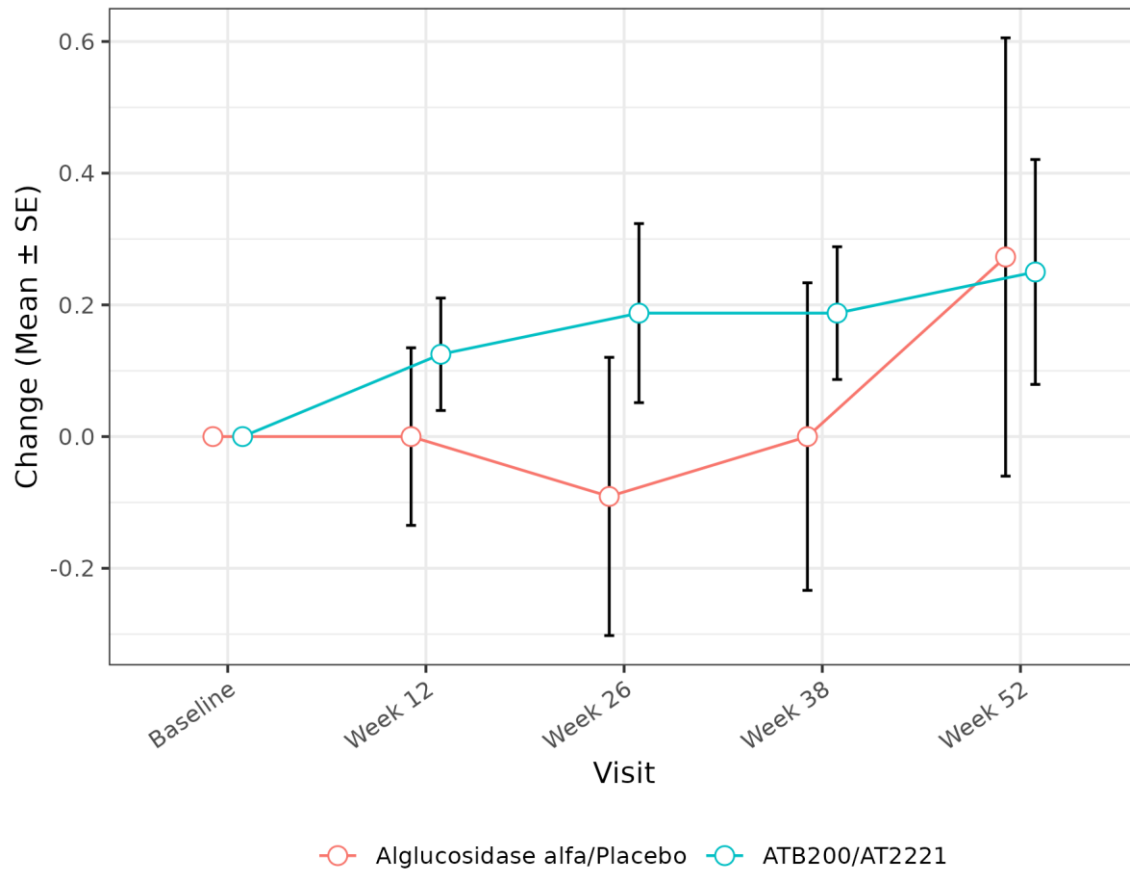


**35.7.1.10.06.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Aktivitäten des täglichen Lebens  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 01\_2****35.7.1.10.06 01\_2**



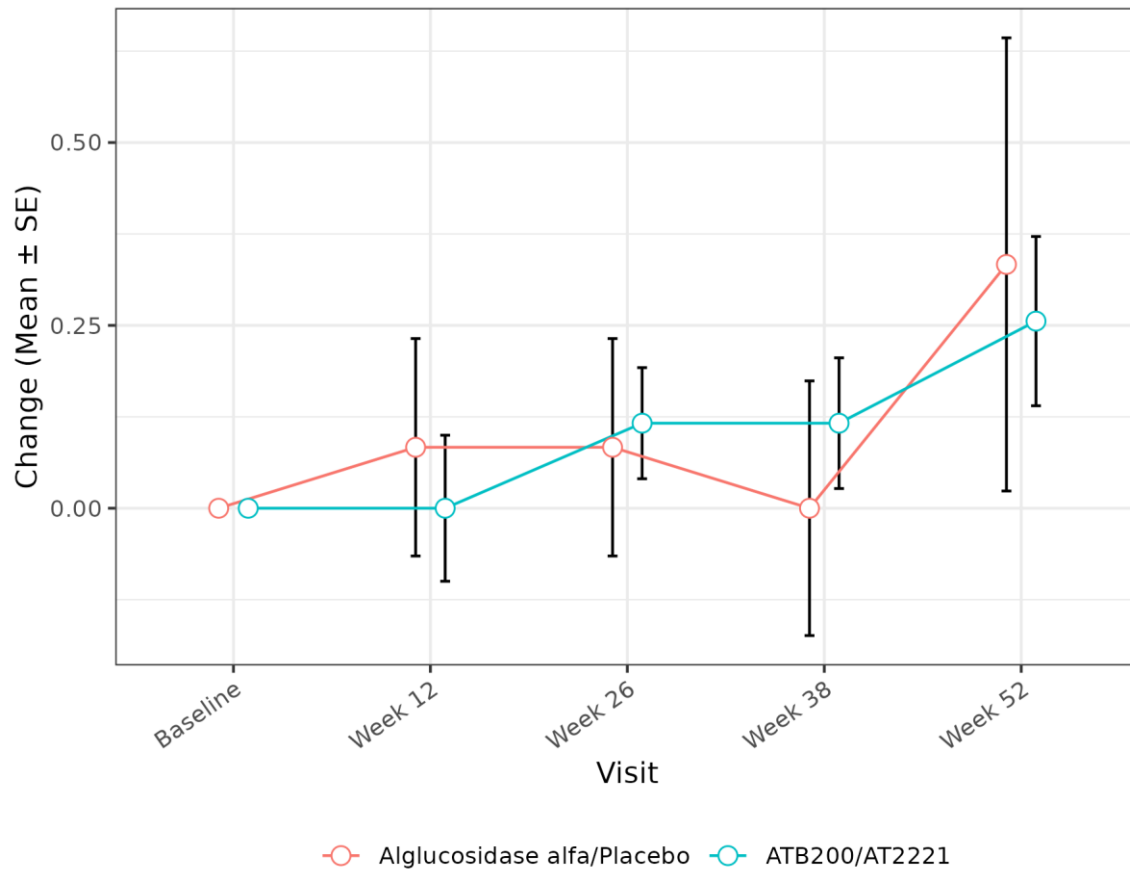
**35.7.1.10.06.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Aktivitäten des täglichen Lebens  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 03\_1**

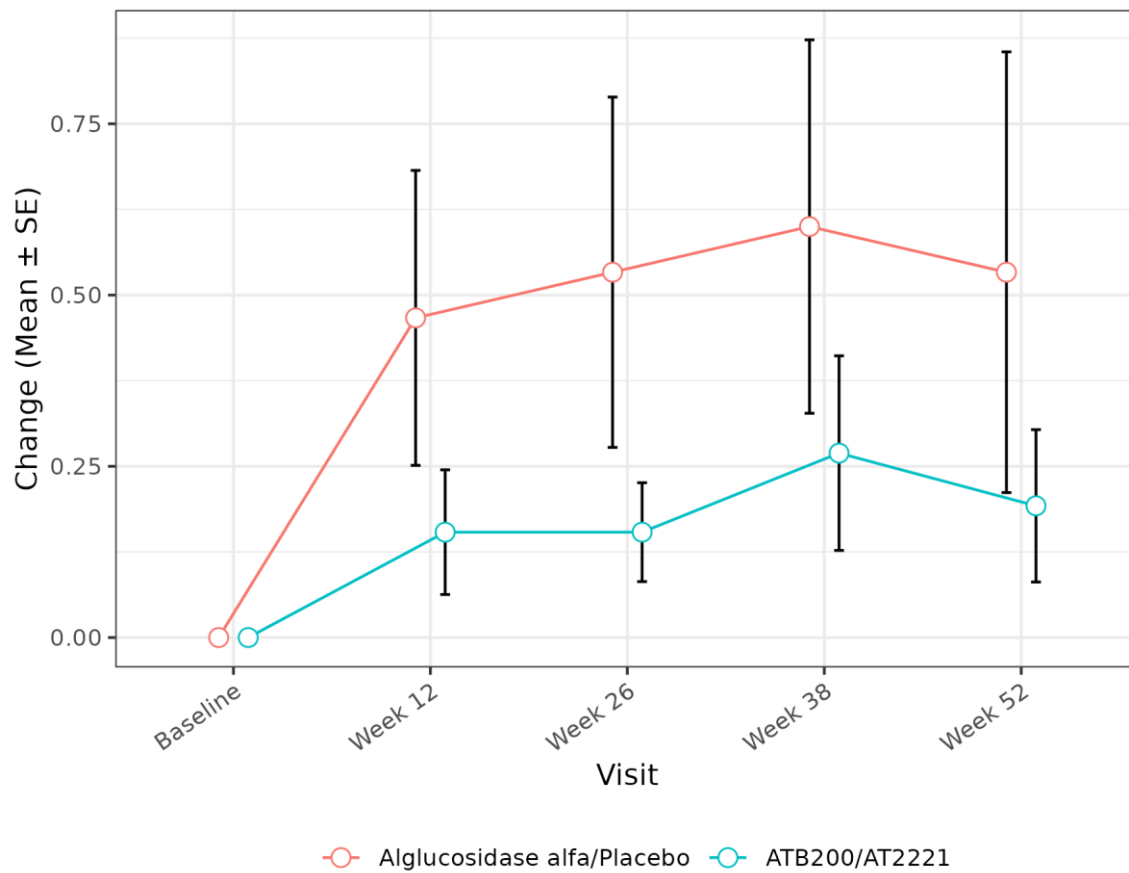
35.7.1.10.06 03\_1



**35.7.1.10.06.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Aktivitäten des täglichen Lebens  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 03\_2**

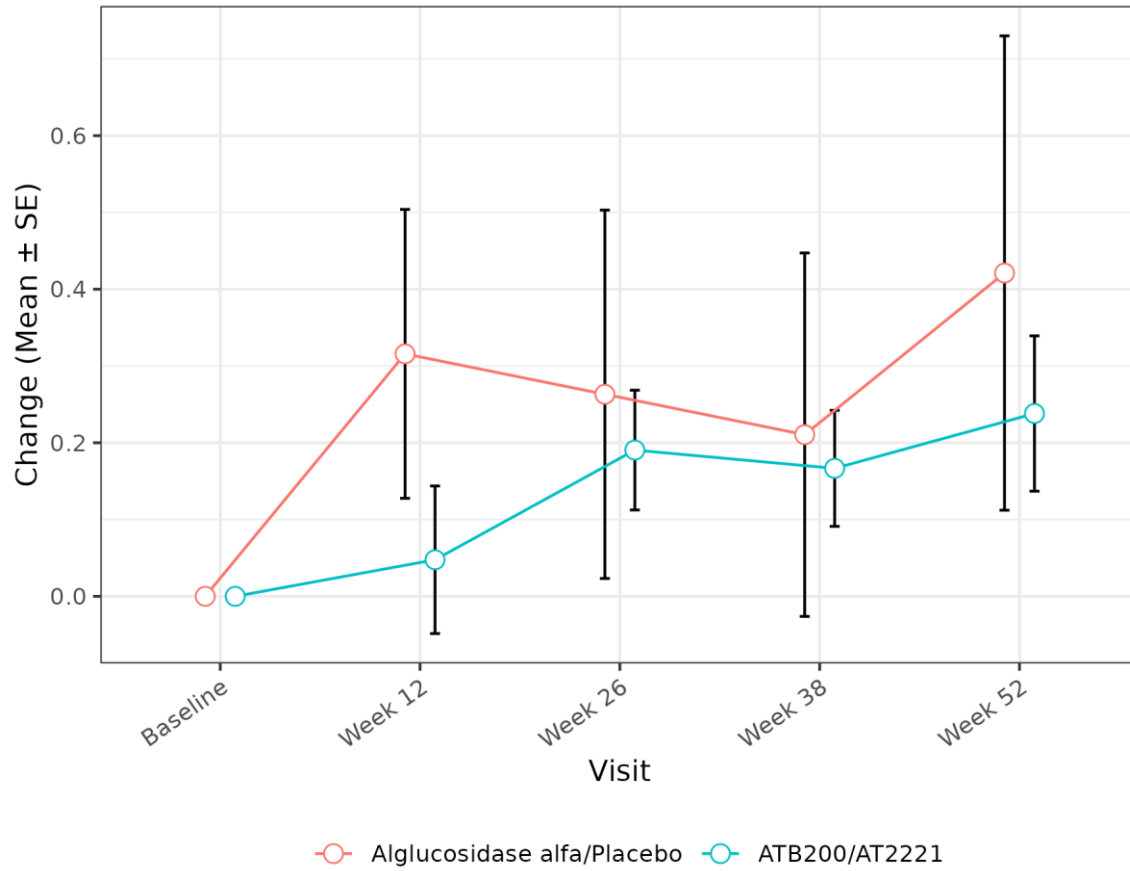
35.7.1.10.06 03\_2

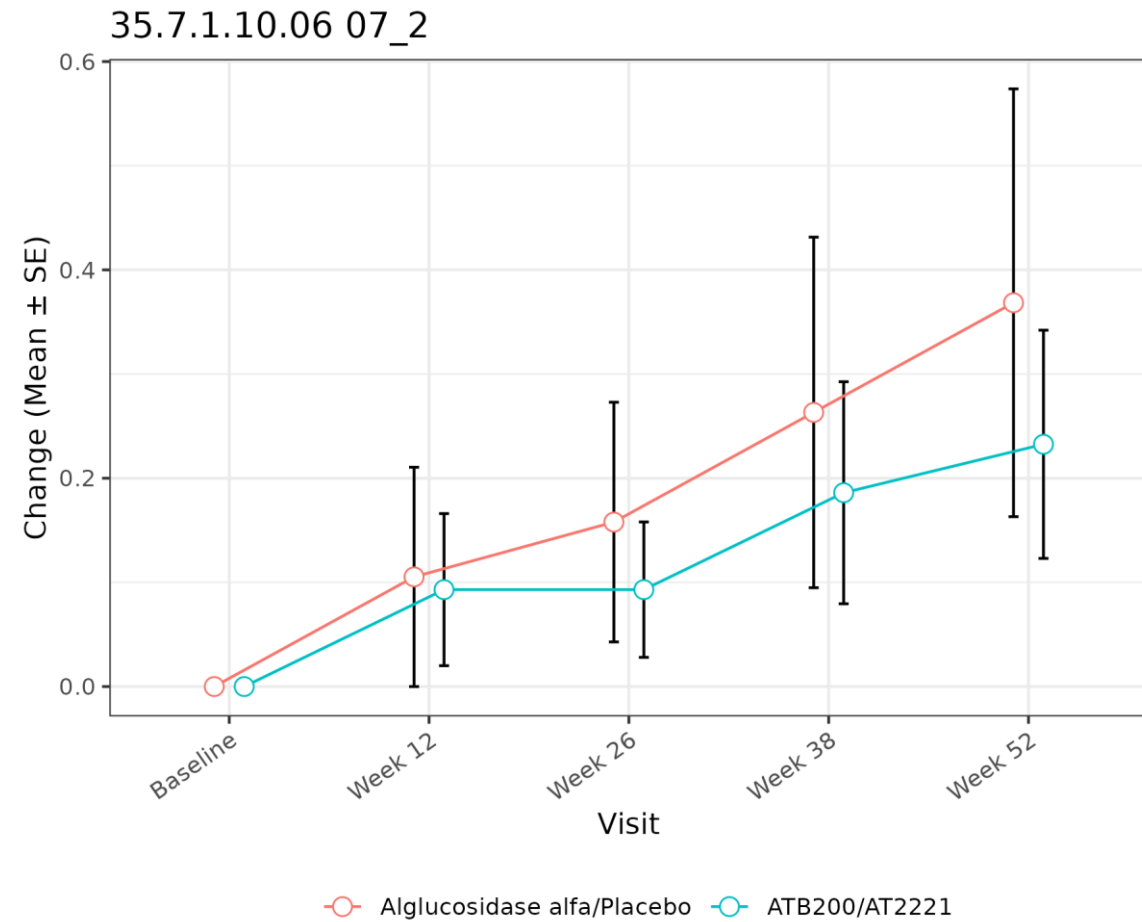


**35.7.1.10.06.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Aktivitäten des täglichen Lebens  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 03\_3****35.7.1.10.06 03\_3**

**35.7.1.10.06.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Aktivitäten des täglichen Lebens  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 07\_1**

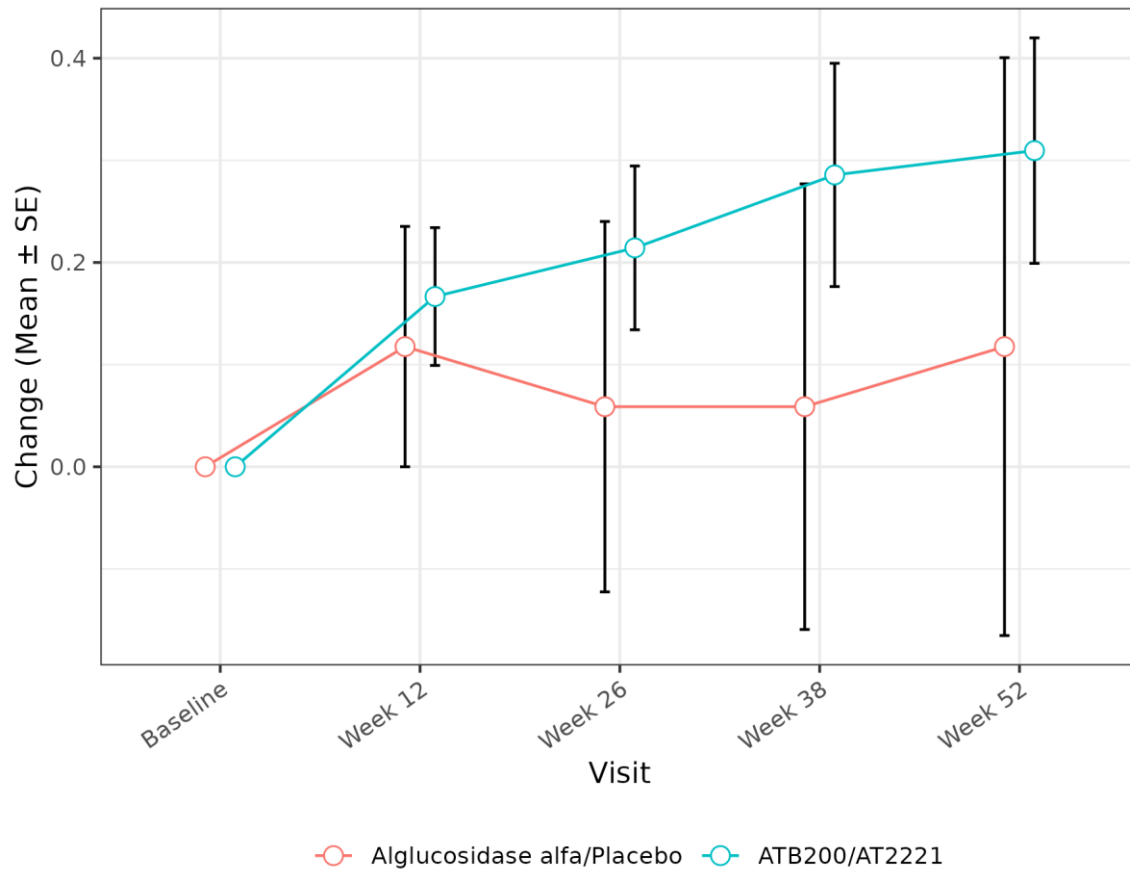
35.7.1.10.06 07\_1

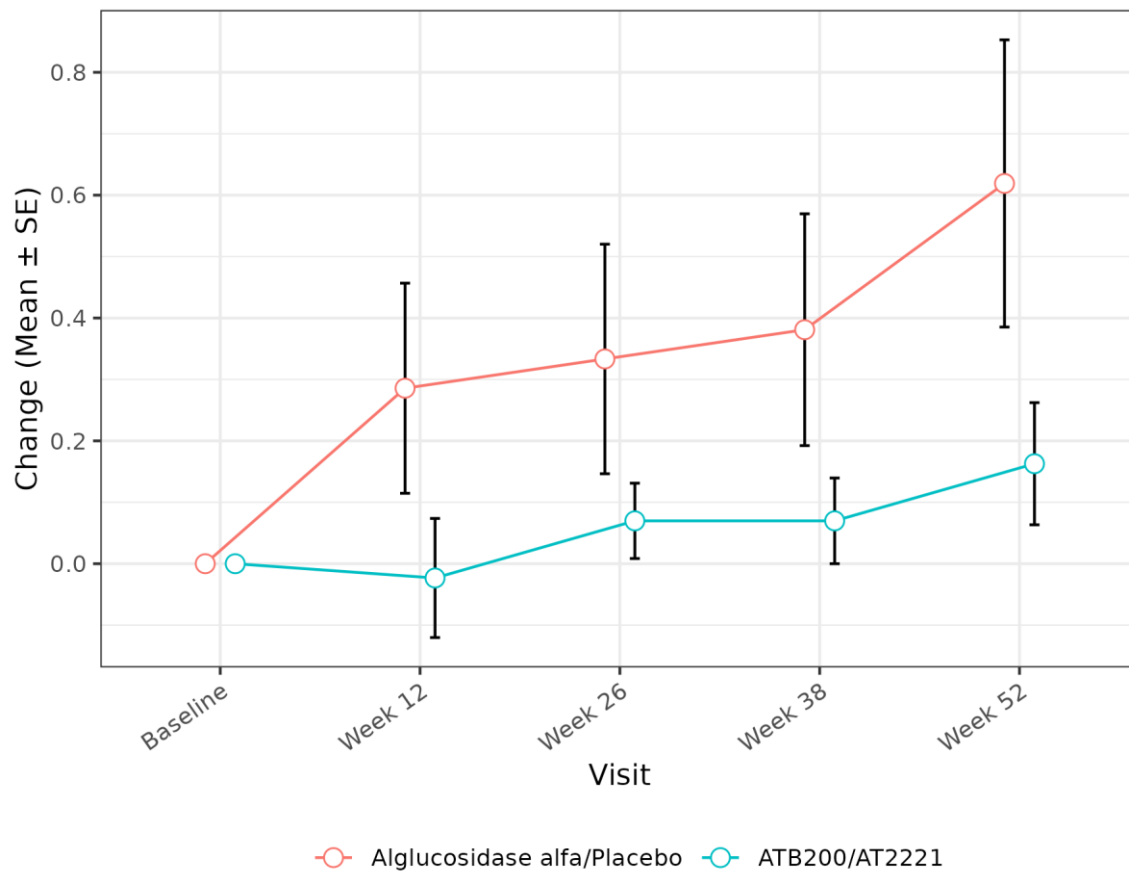


**35.7.1.10.06.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Aktivitäten des täglichen Lebens  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 07\_2**

**35.7.1.10.06.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Aktivitäten des täglichen Lebens  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 08\_1**

35.7.1.10.06 08\_1



**35.7.1.10.06.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Aktivitäten des täglichen Lebens  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 08\_2****35.7.1.10.06 08\_2**

**35.7.1.10.07.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Energielevel****35.7.1.10.07.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Energielevel: Analyse**

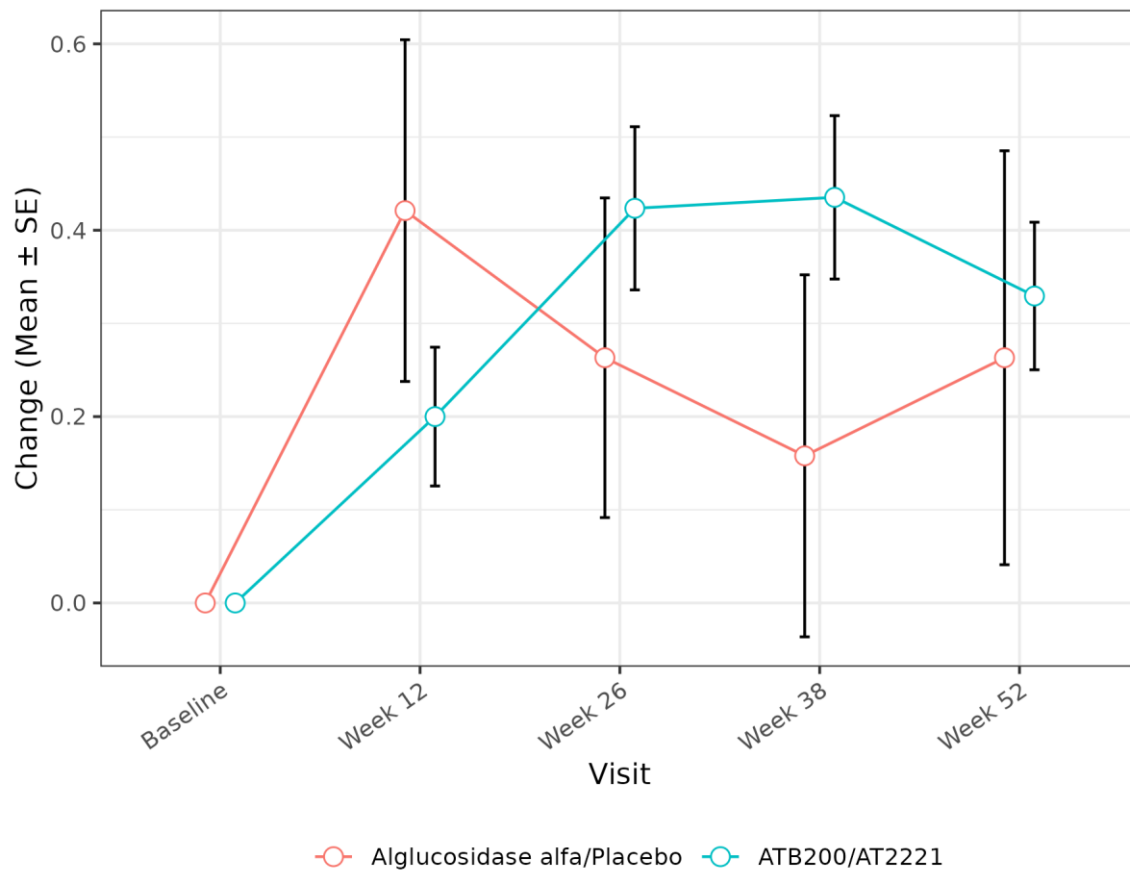
PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>Veränderung des SGIC-Wertes - Energielevel</b>			
<b>Änderung zu Woche 12</b>			
n/N (%)	85/85 (100)	38/38 (100)	Hedges' g -0,26 [-0,643; 0,125] 0,1856
MW (SD)	0,20 (0,687)	0,42 (1,130)	
LS MW (SE)	0,21 (0,093)	0,40 (0,141)	LS MD -0,19 [-0,528; 0,149] 0,2698
95 %-KI	0,026; 0,394	0,121; 0,678	
<b>Änderung zu Woche 26</b>			
n/N (%)	85/85 (100)	38/38 (100)	Hedges' g 0,18 [-0,204; 0,562] 0,3603
MW (SD)	0,42 (0,807)	0,26 (1,057)	
LS MW (SE)	0,41 (0,097)	0,29 (0,146)	LS MD 0,13 [-0,224; 0,481] 0,4721
95 %-KI	0,222; 0,605	-0,005; 0,575	
<b>Änderung zu Woche 38</b>			
n/N (%)	85/85 (100)	38/38 (100)	Hedges' g 0,29 [-0,092; 0,676] 0,1366
MW (SD)	0,44 (0,808)	0,16 (1,197)	
LS MW (SE)	0,43 (0,104)	0,17 (0,157)	LS MD 0,27 [-0,112; 0,646] 0,1661
95 %-KI	0,226; 0,638	-0,147; 0,477	
<b>Änderung zu Woche 52</b>			
n/N (%)	85/85 (100)	38/38 (100)	Hedges' g 0,07
MW (SD)	0,33 (0,730)	0,26 (1,369)	



<b>PROPEL ITT</b>	<b>Behandlungsarm</b>		<b>Effektmaß [95 %-KI] p-Wert</b>
	<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Algluco- sidade alfa/Placebo</b>	
<b>N</b>	<b>85</b>	<b>38</b>	-
			[-0,315; 0,450] 0,7284
LS MW (SE)	0,32 (0,106)	0,28 (0,161)	LS MD 0,04
95 %-KI	0,110; 0,530	-0,035; 0,602	[-0,350; 0,424] 0,8510
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

**35.7.1.10.07.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Energielevel Mittelwertveränderungsplot**

**35.7.1.10.07**



**35.7.1.10.07.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Energielevel: Interaktionstest**

<b>Veränderung des SGIC-Wertes - Energielevel: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	0,3092
02	0,5379
03	0,1025
04	0,1550
05	0,2684
06	0,0219
07	0,6500
08	0,0006
09	0,5540
10	0,1883

*Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.*

*In dem Interaktionstest bei Subgruppe 09 ERT-Dauer wird die Variable ERT-Status aus dem Model entfernt, da es keine Dauer der ERT Behandlung für ERT naive Patienten gibt*

**35.7.1.10.07.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Energielevel: Subgruppenanalyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
<b>Veränderung des SGIC-Wertes - Energielevel</b>			
Änderung zu Woche 12			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	36/36 (100)	20/20 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,19 (0,624)	0,30 (0,923)	-0,14 [-0,687; 0,407]
LS MW (SE)	0,22 (0,123)	0,25 (0,168)	LS MD
95 %-KI	-0,026; 0,469	-0,087; 0,589	-0,03 [-0,458; 0,400] 0,8913
2			
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,20 (0,735)	0,56 (1,338)	-0,37 [-0,917; 0,171]
LS MW (SE)	0,22 (0,135)	0,51 (0,228)	LS MD
95 %-KI	-0,051; 0,489	0,059; 0,971	-0,30 [-0,836; 0,244] 0,2776
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,12 (0,719)	0,00 (1,183)	0,13 [-0,639; 0,899]
LS MW (SE)	0,11 (0,263)	0,03 (0,325)	LS MD
95 %-KI	-0,442; 0,655	-0,650; 0,704	0,08 [-0,842; 1,002] 0,8589
2			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Algluco- sidade alfa/Placebo	
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,12 (0,662)	0,17 (0,577)	-0,08 [-0,717; 0,563]
LS MW (SE)	0,11 (0,097)	0,18 (0,185)	LS MD
95 %-KI	-0,082; 0,308	-0,193; 0,550	-0,07 [-0,486; 0,356] 0,7563
<b>3</b>			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,38 (0,697)	0,93 (1,280)	-0,57 [-1,216; 0,081]
LS MW (SE)	0,43 (0,197)	0,86 (0,265)	LS MD
95 %-KI	0,024; 0,827	0,325; 1,400	-0,44 [-1,128; 0,254] 0,2074
<b>07</b>			
<b>1</b>			
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,19 (0,671)	0,63 (1,342)	-0,47 [-1,018; 0,080]
LS MW (SE)	0,22 (0,148)	0,57 (0,225)	LS MD
95 %-KI	-0,077; 0,517	0,115; 1,018	-0,35 [-0,900; 0,208] 0,2154
<b>2</b>			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,21 (0,709)	0,21 (0,855)	-0,00 [-0,542; 0,538]
LS MW (SE)	0,21 (0,117)	0,20 (0,177)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
95 %-KI	-0,021; 0,447	-0,152; 0,557	0,01 [-0,418; 0,439] 0,9612
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,31 (0,643)	0,35 (1,222)	-0,05 [-0,614; 0,513]
LS MW (SE)	0,29 (0,132)	0,39 (0,210)	LS MD
95 %-KI	0,029; 0,559	-0,031; 0,811	-0,10 [-0,598; 0,407] 0,7041
2			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,09 (0,718)	0,48 (1,078)	-0,44 [-0,973; 0,083]
LS MW (SE)	0,12 (0,132)	0,43 (0,193)	LS MD
95 %-KI	-0,148; 0,383	0,039; 0,812	-0,31 [-0,787; 0,172] 0,2038
Änderung zu Woche 26			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	36/36 (100)	20/20 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,31 (0,749)	0,25 (0,967)	0,07 [-0,481; 0,613]
LS MW (SE)	0,30 (0,136)	0,26 (0,185)	LS MD
95 %-KI	0,026; 0,571	-0,109; 0,635	0,04 [-0,437; 0,508] 0,8817
2			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,51 (0,845)	0,28 (1,179)	0,24 [-0,298; 0,785]
LS MW (SE)	0,50 (0,137)	0,32 (0,231)	LS MD
95 %-KI	0,221; 0,769	-0,143; 0,781	0,18 [-0,371; 0,723] 0,5228
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,38 (0,806)	-0,09 (0,831)	0,55 [-0,231; 1,337]
LS MW (SE)	0,35 (0,227)	-0,05 (0,280)	LS MD
95 %-KI	-0,125; 0,823	-0,638; 0,531	0,40 [-0,393; 1,198] 0,3040
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,33 (0,747)	0,33 (0,492)	-0,01 [-0,651; 0,629]
LS MW (SE)	0,33 (0,107)	0,32 (0,203)	LS MD
95 %-KI	0,115; 0,544	-0,087; 0,729	0,01 [-0,455; 0,471] 0,9721
3			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,62 (0,898)	0,47 (1,457)	0,13 [-0,507; 0,765]
LS MW (SE)	0,58 (0,227)	0,52 (0,304)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
95 %-KI	0,122; 1,043	-0,093; 1,141	0,06 [-0,735; 0,852] 0,8822
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,48 (0,804)	0,11 (1,150)	0,40 [-0,150; 0,943]
LS MW (SE)	0,49 (0,141)	0,07 (0,214)	LS MD
95 %-KI	0,211; 0,775	-0,361; 0,497	0,43 [-0,101; 0,952] 0,1113
2			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,37 (0,817)	0,42 (0,961)	-0,06 [-0,596; 0,484]
LS MW (SE)	0,35 (0,133)	0,46 (0,201)	LS MD
95 %-KI	0,088; 0,620	0,059; 0,866	-0,11 [-0,596; 0,379] 0,6581
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,62 (0,854)	0,06 (1,249)	0,56 [-0,010; 1,137]
LS MW (SE)	0,58 (0,144)	0,15 (0,229)	LS MD
95 %-KI	0,292; 0,869	-0,305; 0,612	0,43 [-0,121; 0,975] 0,1237
2			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	Hedges' g



PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
MW (SD)	0,23 (0,718)	0,43 (0,870)	-0,25 [-0,775; 0,272]
LS MW (SE)	0,24 (0,120)	0,42 (0,175)	LS MD
95 %-KI	-0,002; 0,479	0,066; 0,766	-0,18 [-0,612; 0,257] 0,4178
Änderung zu Woche 38			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	36/36 (100)	20/20 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,33 (0,894)	0,10 (0,852)	0,26 [-0,287; 0,810]
LS MW (SE)	0,35 (0,151)	0,07 (0,206)	LS MD
95 %-KI	0,046; 0,652	-0,341; 0,484	0,28 [-0,247; 0,803] 0,2926
2			
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,51 (0,739)	0,22 (1,517)	0,28 [-0,259; 0,826]
LS MW (SE)	0,50 (0,148)	0,25 (0,250)	LS MD
95 %-KI	0,203; 0,797	-0,251; 0,751	0,25 [-0,343; 0,843] 0,4028
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,38 (0,806)	0,09 (1,221)	0,28 [-0,494; 1,049]
LS MW (SE)	0,20 (0,264)	0,34 (0,326)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
95 %-KI	-0,349; 0,752	-0,335; 1,023	-0,14 [-1,068; 0,782] 0,7504
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,40 (0,791)	-0,08 (0,900)	0,58 [-0,071; 1,229]
LS MW (SE)	0,40 (0,128)	-0,10 (0,244)	LS MD
95 %-KI	0,142; 0,658	-0,591; 0,392	0,50 [-0,058; 1,057] 0,0778
3			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,54 (0,859)	0,40 (1,404)	0,12 [-0,511; 0,761]
LS MW (SE)	0,52 (0,230)	0,43 (0,308)	LS MD
95 %-KI	0,055; 0,990	-0,199; 1,054	0,09 [-0,710; 0,900] 0,8122
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,57 (0,801)	0,00 (1,491)	0,53 [-0,018; 1,083]
LS MW (SE)	0,58 (0,166)	-0,02 (0,252)	LS MD
95 %-KI	0,247; 0,911	-0,521; 0,489	0,60 [-0,024; 1,215] 0,0594
2			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	Hedges' g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
MW (SD)	0,30 (0,803)	0,32 (0,820)	-0,02 [-0,556; 0,523]
LS MW (SE)	0,30 (0,125)	0,31 (0,189)	LS MD
95 %-KI	0,054; 0,554	-0,067; 0,692	-0,01 [-0,467; 0,450] 0,9694
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,67 (0,846)	-0,06 (1,345)	0,71 [0,129; 1,287]
LS MW (SE)	0,64 (0,155)	0,00 (0,247)	LS MD
95 %-KI	0,331; 0,954	-0,495; 0,496	0,64 [0,051; 1,234] 0,0338
2			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,21 (0,709)	0,33 (1,065)	-0,15 [-0,668; 0,377]
LS MW (SE)	0,20 (0,127)	0,36 (0,185)	LS MD
95 %-KI	-0,058; 0,451	-0,011; 0,730	-0,16 [-0,622; 0,297] 0,4815
Änderung zu Woche 52			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	36/36 (100)	20/20 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,25 (0,649)	0,10 (1,021)	0,18 [-0,363; 0,733]
LS MW (SE)	0,30 (0,134)	0,01 (0,183)	LS MD

Medizinischer Nutzen, medizinischer Zusatznutzen, Patientengruppen mit therap. bedeutsamem Zusatznutzen

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
95 %-KI	0,029; 0,569	-0,356; 0,379	0,29 [-0,180; 0,754] 0,2227
2			
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,39 (0,786)	0,44 (1,688)	-0,05 [-0,591; 0,489]
LS MW (SE)	0,35 (0,159)	0,56 (0,269)	LS MD
95 %-KI	0,028; 0,665	0,020; 1,095	-0,21 [-0,848; 0,425] 0,5086
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,25 (0,683)	-0,09 (1,375)	0,32 [-0,449; 1,098]
LS MW (SE)	0,18 (0,291)	0,01 (0,359)	LS MD
95 %-KI	-0,422; 0,790	-0,743; 0,753	0,18 [-0,840; 1,197] 0,7186
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,30 (0,708)	0,17 (1,115)	0,17 [-0,476; 0,806]
LS MW (SE)	0,30 (0,124)	0,17 (0,237)	LS MD
95 %-KI	0,052; 0,553	-0,310; 0,643	0,14 [-0,404; 0,675] 0,6158
3			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges' g

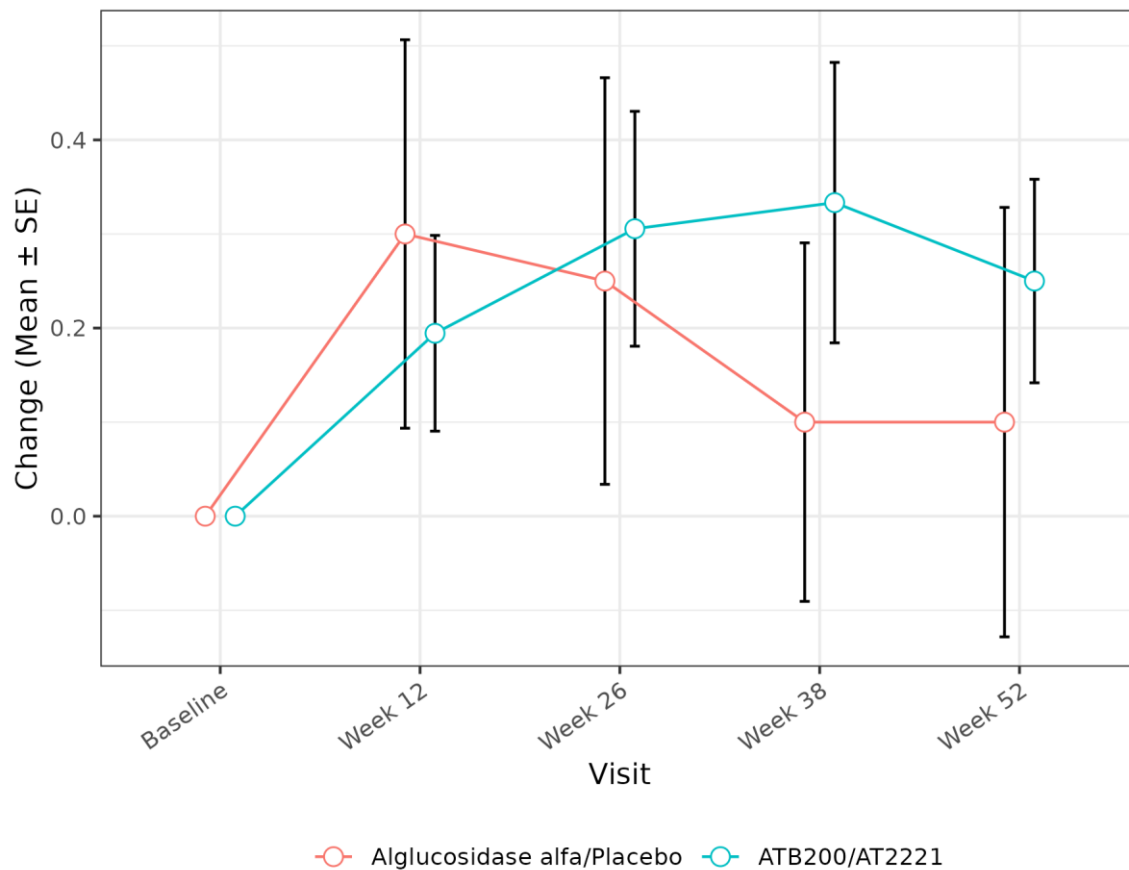
Medizinischer Nutzen, medizinischer Zusatznutzen, Patientengruppen mit therap. bedeutsamem Zusatznutzen

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
MW (SD)	0,42 (0,809)	0,60 (1,549)	-0,15 [-0,790; 0,483]
LS MW (SE)	0,41 (0,236)	0,63 (0,316)	LS MD
95 %-KI	-0,071; 0,888	-0,017; 1,269	-0,22 [-1,044; 0,609] 0,5966
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,43 (0,703)	0,21 (1,653)	0,20 [-0,345; 0,742]
LS MW (SE)	0,44 (0,162)	0,19 (0,247)	LS MD
95 %-KI	0,112; 0,763	-0,305; 0,685	0,25 [-0,360; 0,855] 0,4170
2			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,23 (0,751)	0,32 (1,057)	-0,10 [-0,636; 0,444]
LS MW (SE)	0,23 (0,127)	0,33 (0,193)	LS MD
95 %-KI	-0,028; 0,482	-0,058; 0,714	-0,10 [-0,568; 0,365] 0,6654
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,43 (0,801)	0,12 (1,453)	0,30 [-0,267; 0,865]
LS MW (SE)	0,39 (0,148)	0,21 (0,236)	LS MD

<b>PROPEL ITT</b>	<b>Behandlungsarm</b>		<b>Effektmaß [95 %-KI] p-Wert</b>
	<b>Cipaglucosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>	
95 %-KI	0,095; 0,691	-0,268; 0,679	0,19 [-0,378; 0,753] 0,5085
2			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,23 (0,649)	0,38 (1,322)	-0,16 [-0,682; 0,363]
LS MW (SE)	0,21 (0,135)	0,43 (0,196)	LS MD
95 %-KI	-0,061; 0,479	0,035; 0,822	-0,22 [-0,707; 0,269] 0,3716
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

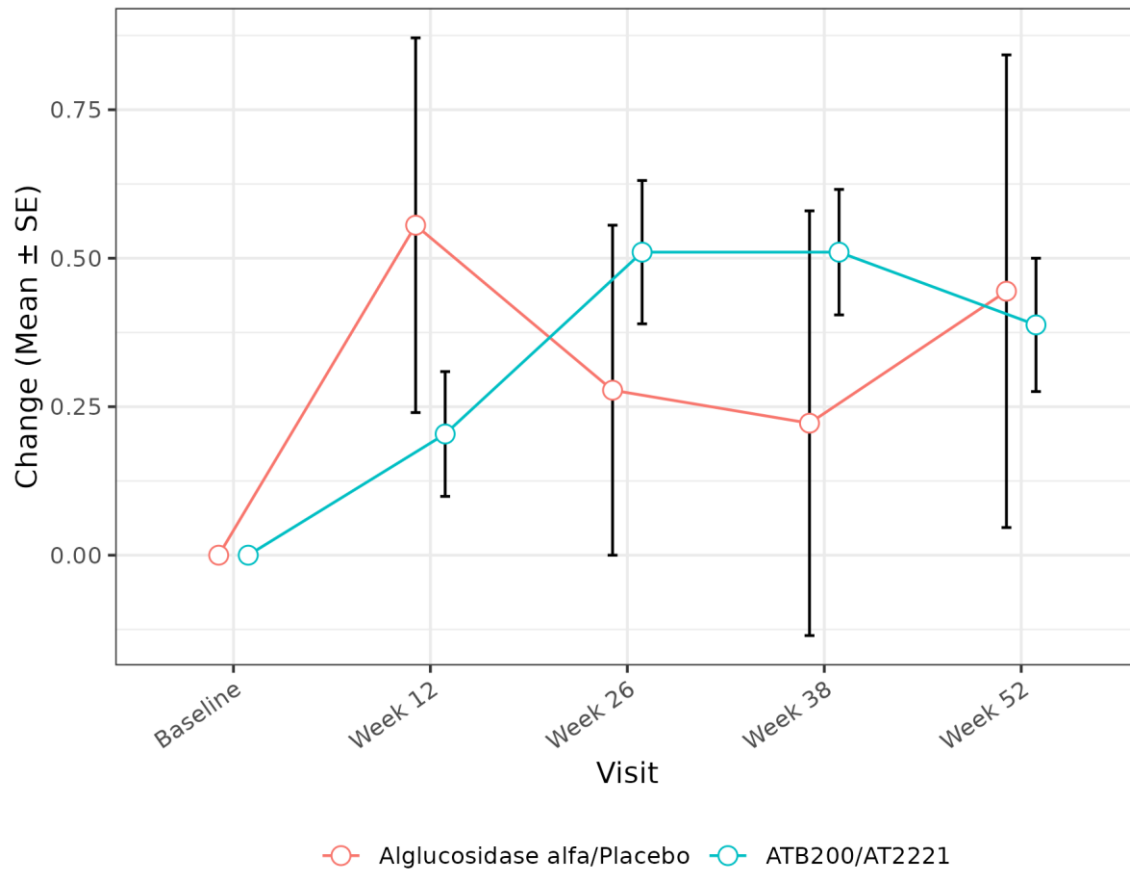
**35.7.1.10.07.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Energielevel: Mittelwertveränderungsplots der Subgruppen****35.7.1.10.07.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Energielevel Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 01\_1**

35.7.1.10.07 01\_1

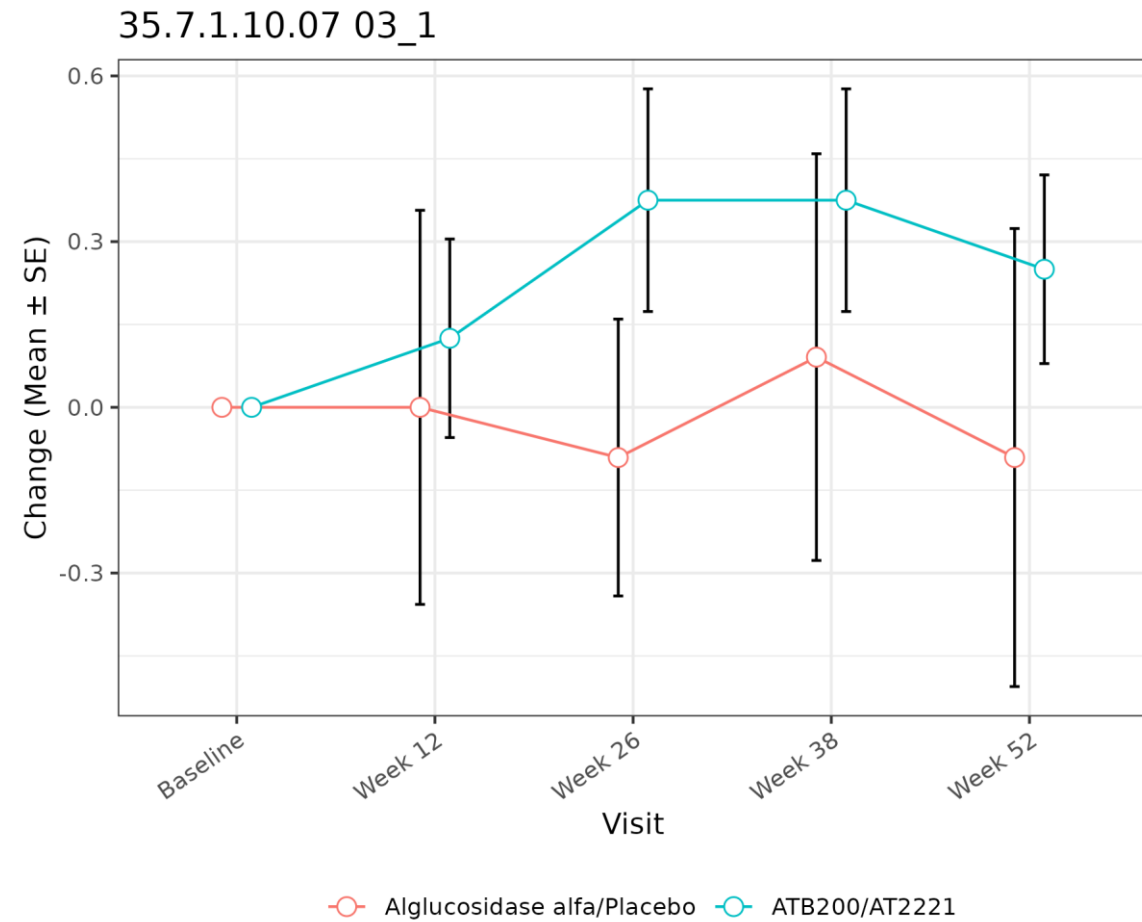


**35.7.1.10.07.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Energielevel Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 01\_2**

35.7.1.10.07 01\_2

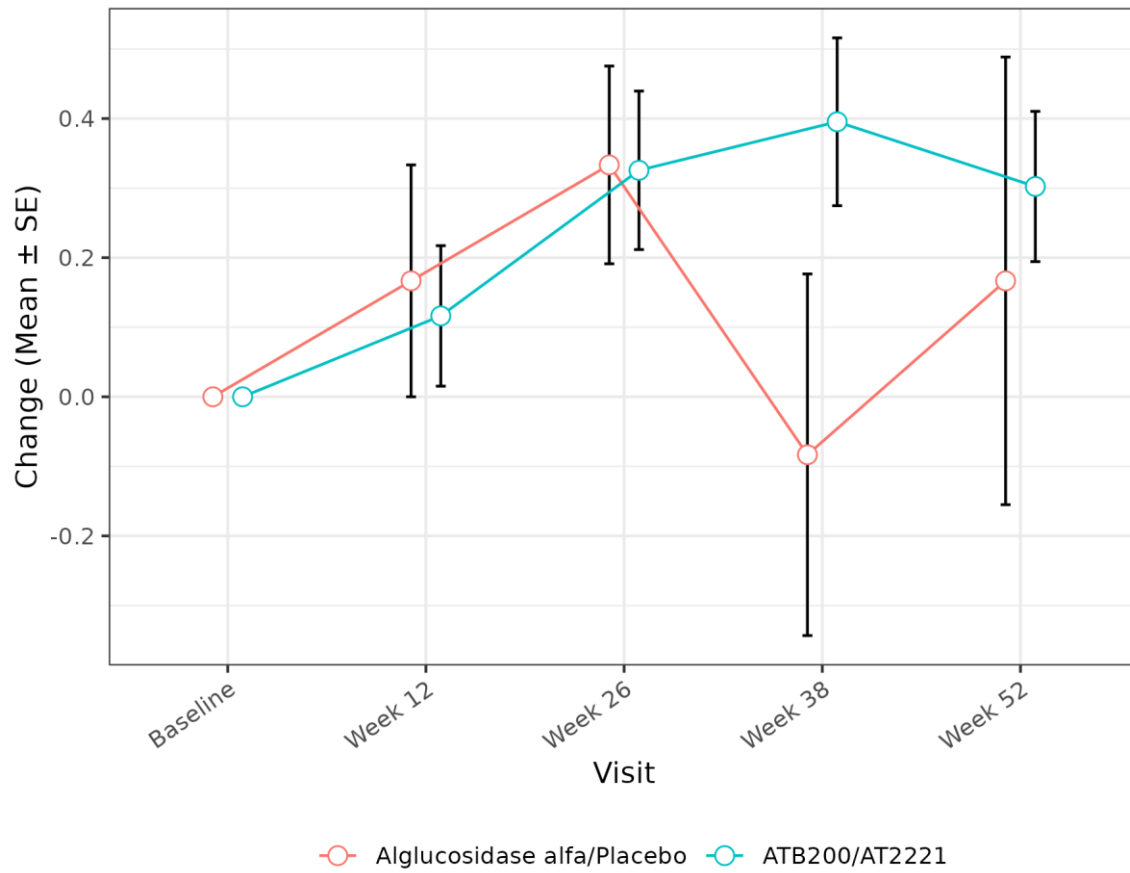




**35.7.1.10.07.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Energielevel Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 03\_1**

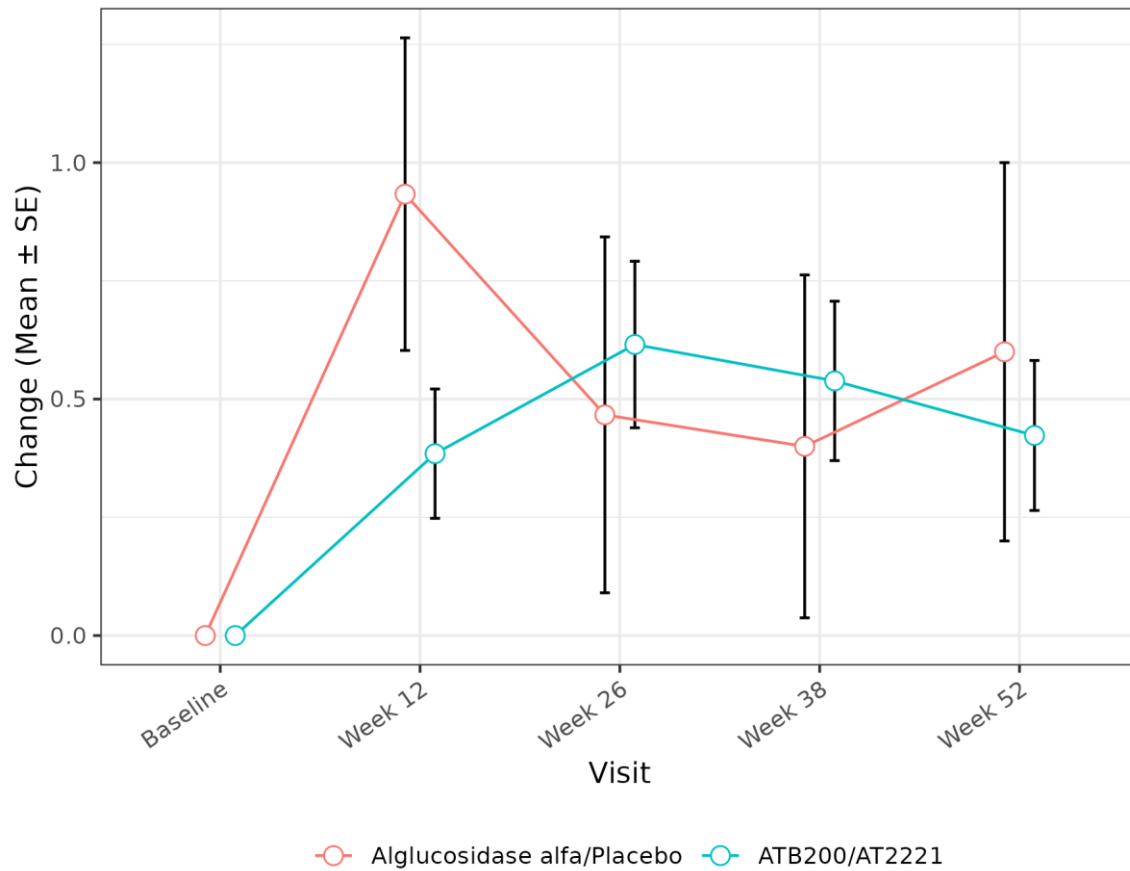
**35.7.1.10.07.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Energielevel Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 03\_2**

35.7.1.10.07 03\_2

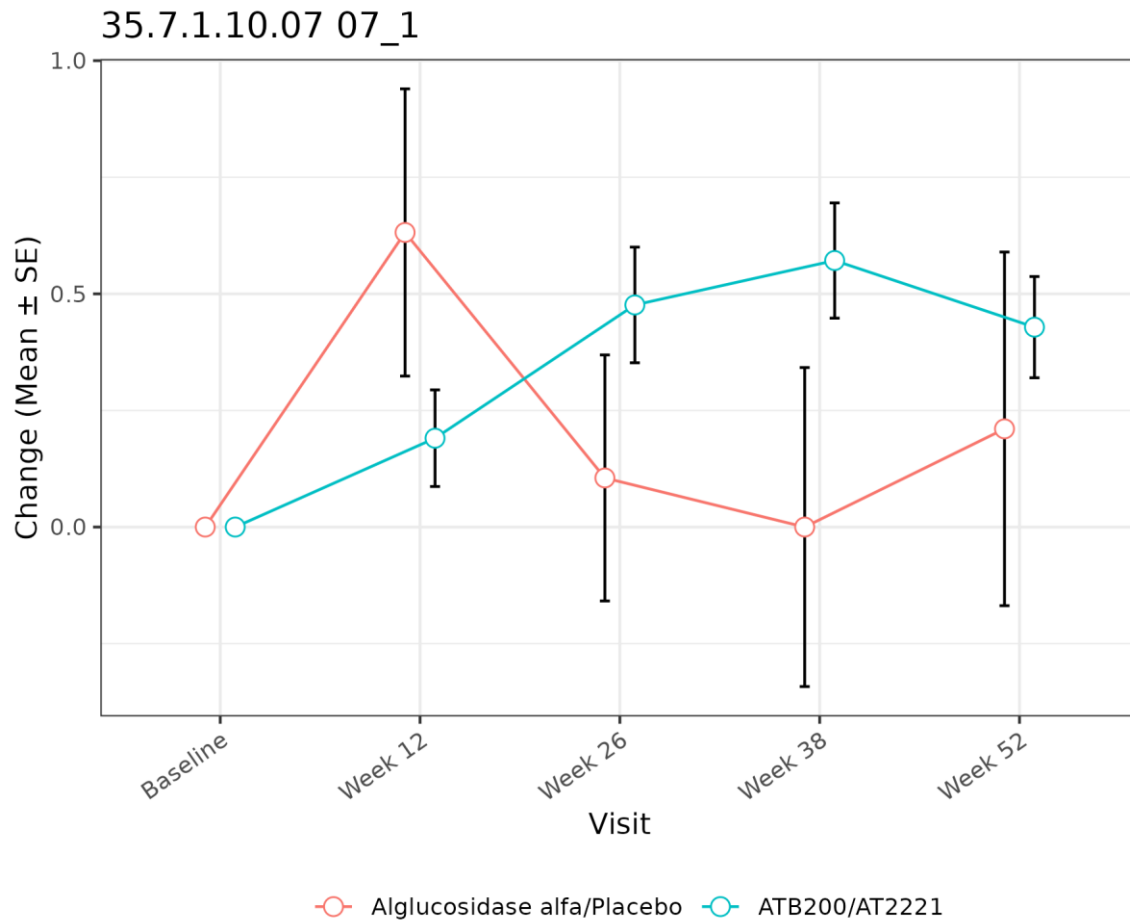


**35.7.1.10.07.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Energielevel Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 03\_3**

35.7.1.10.07 03\_3

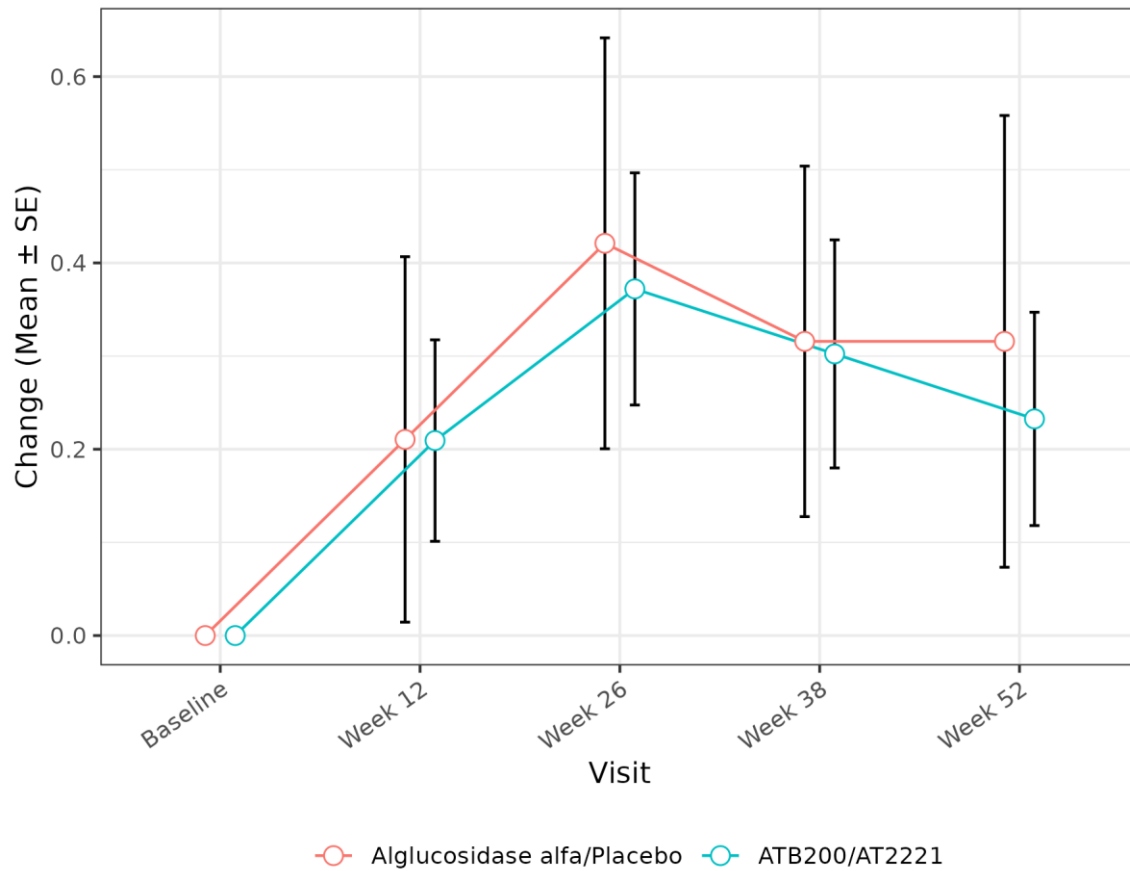


**35.7.1.10.07.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Energielevel Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 07\_1**

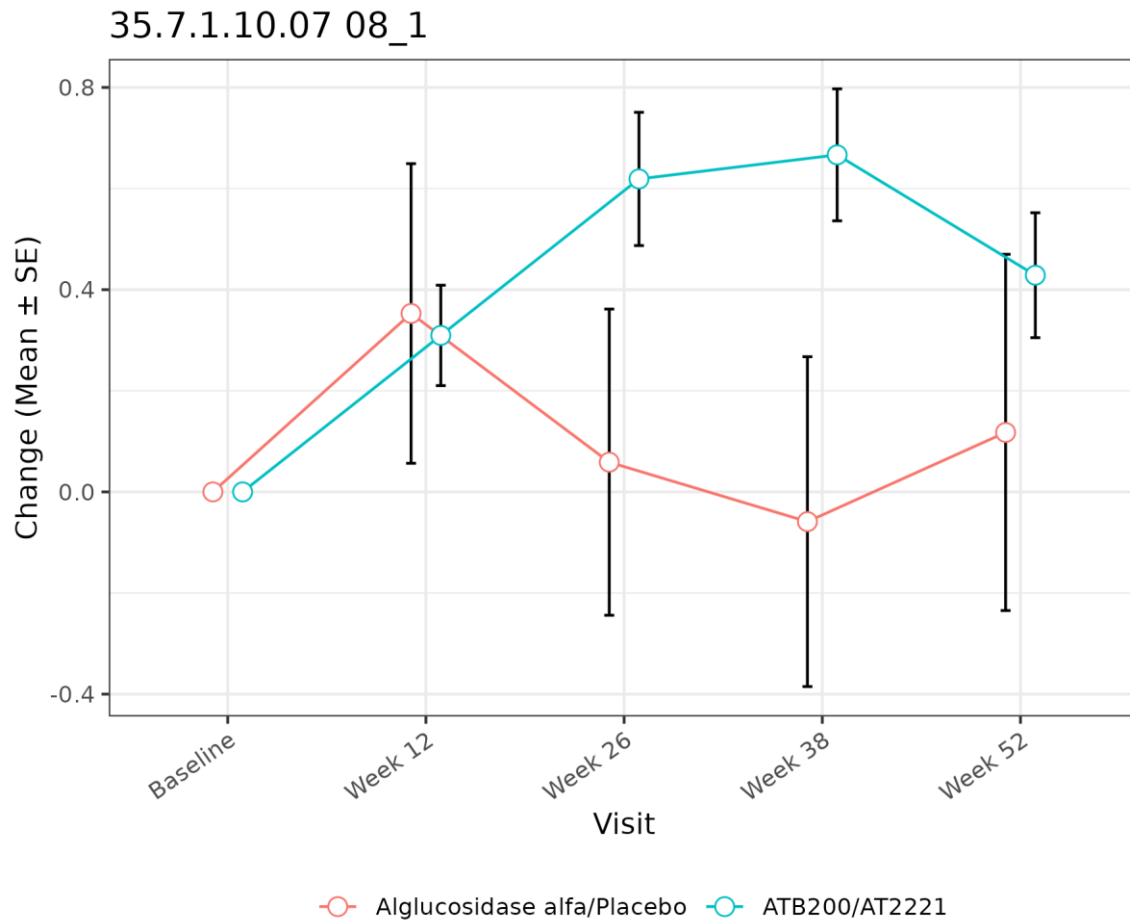


**35.7.1.10.07.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Energielevel Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 07\_2**

35.7.1.10.07 07\_2

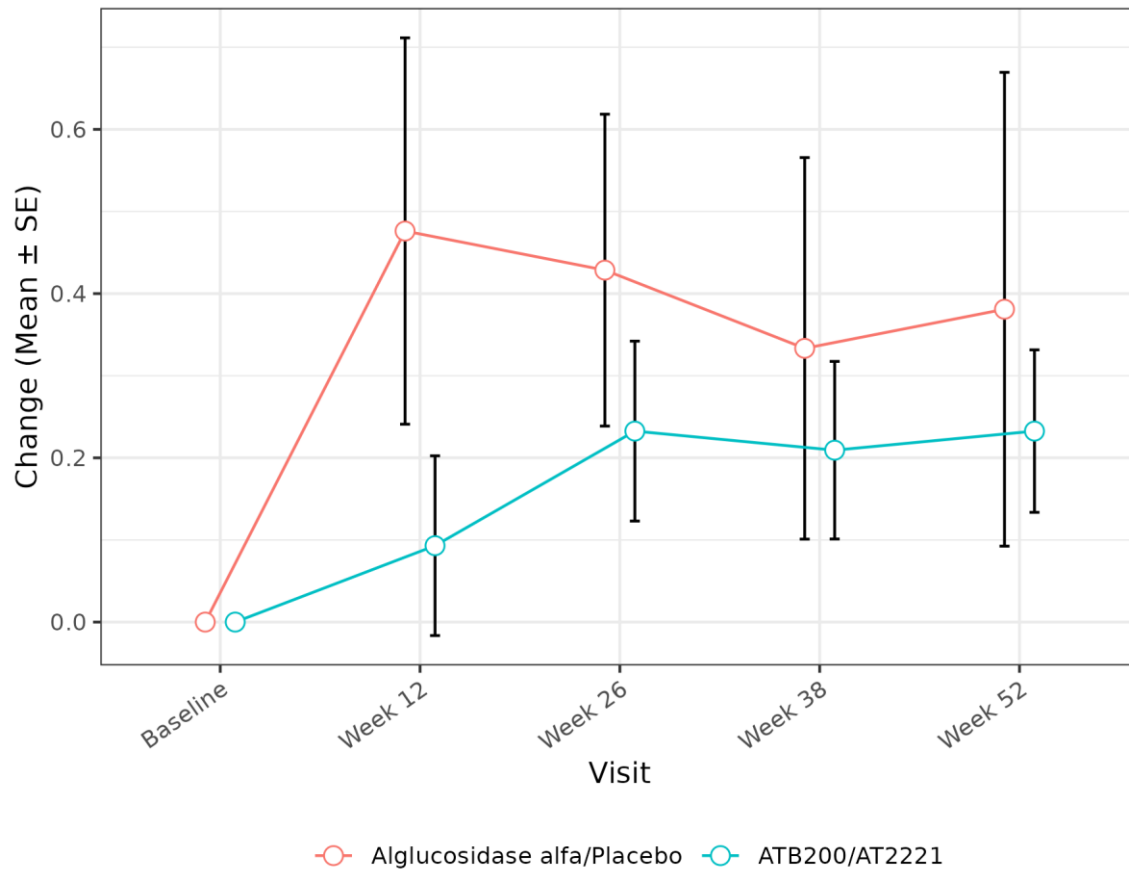


**35.7.1.10.07.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Energielevel Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 08\_1**



**35.7.1.10.07.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Energielevel Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 08\_2**

## 35.7.1.10.07 08\_2



**35.7.1.10.08.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelschmerzen****35.7.1.10.08.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelschmerzen: Analyse**

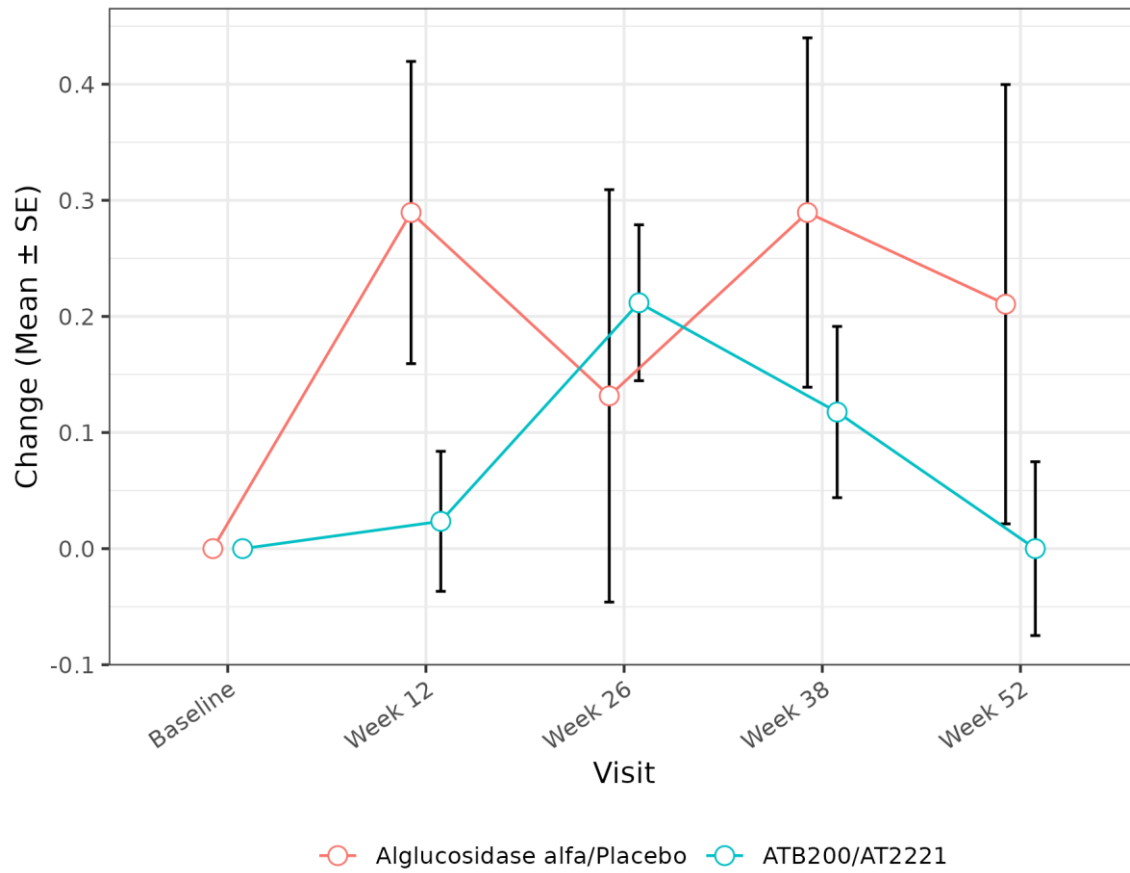
PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	85	38	-
<b>Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelschmerzen</b>			
<b>Änderung zu Woche 12</b>			
n/N (%)	85/85 (100)	38/38 (100)	Hedges' g -0,41 [-0,798; -0,026] 0,0364
MW (SD)	0,02 (0,556)	0,29 (0,802)	
LS MW (SE)	0,02 (0,071)	0,29 (0,108)	LS MD -0,26 [-0,525; -0,004] 0,0468
95 %-KI	-0,117; 0,165	0,074; 0,503	
<b>Änderung zu Woche 26</b>			
n/N (%)	85/85 (100)	38/38 (100)	Hedges' g 0,10 [-0,282; 0,483] 0,6078
MW (SD)	0,21 (0,619)	0,13 (1,095)	
LS MW (SE)	0,22 (0,088)	0,11 (0,134)	LS MD 0,10 [-0,218; 0,427] 0,5221
95 %-KI	0,044; 0,394	-0,150; 0,380	
<b>Änderung zu Woche 38</b>			
n/N (%)	85/85 (100)	38/38 (100)	Hedges' g -0,22 [-0,607; 0,160] 0,2534
MW (SD)	0,12 (0,680)	0,29 (0,927)	
LS MW (SE)	0,11 (0,083)	0,31 (0,126)	LS MD -0,20 [-0,508; 0,098] 0,1833
95 %-KI	-0,057; 0,272	0,063; 0,562	
<b>Änderung zu Woche 52</b>			
n/N (%)	85/85 (100)	38/38 (100)	Hedges' g -0,24
MW (SD)	0,00 (0,690)	0,21 (1,166)	



<b>PROPEL ITT</b>	<b>Behandlungsarm</b>		<b>Effektmaß [95 %-KI] p-Wert</b>
	<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Algluco- sidade alfa/Placebo</b>	
<b>N</b>	<b>85</b>	<b>38</b>	-
			[-0,626; 0,142] 0,2161
<b>LS MW (SE)</b>	-0,01 (0,095)	0,22 (0,144)	<b>LS MD</b> -0,23
<b>95 %-KI</b>	-0,194; 0,182	-0,061; 0,509	[-0,577; 0,117] 0,1914
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

**35.7.1.10.08.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelschmerzen  
Mittelwertveränderungsplot**

35.7.1.10.08



**35.7.1.10.08.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelschmerzen: Interaktionstest**

<b>Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelschmerzen: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	0,5354
02	0,3593
03	0,0820
04	< 0,0001
05	0,3259
06	0,3752
07	0,0025
08	0,0017
09	0,5346
10	0,0158

*Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.*

*In dem Interaktionstest bei Subgruppe 09 ERT-Dauer wird die Variable ERT-Status aus dem Model entfernt, da es keine Dauer der ERT Behandlung für ERT naive Patienten gibt*

**35.7.1.10.08.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelschmerzen: Subgruppenanalyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
<b>Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelschmerzen</b>			
Änderung zu Woche 12			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	36/36 (100)	20/20 (100)	Hedges' g
MW (SD)	-0,03 (0,560)	0,30 (0,801)	-0,49 [-1,048; 0,061]
LS MW (SE)	-0,01 (0,112)	0,27 (0,153)	LS MD
95 %-KI	-0,237; 0,214	-0,037; 0,578	-0,28 [-0,673; 0,108] 0,1527
2			
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,06 (0,556)	0,28 (0,826)	-0,34 [-0,879; 0,208]
LS MW (SE)	0,07 (0,093)	0,24 (0,157)	LS MD
95 %-KI	-0,113; 0,260	-0,070; 0,558	-0,17 [-0,542; 0,202] 0,3643
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,25 (0,577)	0,00 (0,000)	NA [NA; NA]
LS MW (SE)	0,23 (0,125)	0,02 (0,155)	LS MD
95 %-KI	-0,027; 0,496	-0,300; 0,345	0,21 [-0,228; 0,651] 0,3270
2			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges' g
MW (SD)	-0,07 (0,507)	0,42 (0,900)	-0,79 [-1,444; -0,129]
LS MW (SE)	-0,07 (0,095)	0,42 (0,181)	LS MD
95 %-KI	-0,263; 0,120	0,057; 0,787	-0,49 [-0,906; -0,080] 0,0204
<b>3</b>			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,04 (0,599)	0,40 (0,986)	-0,47 [-1,110; 0,178]
LS MW (SE)	0,05 (0,160)	0,38 (0,215)	LS MD
95 %-KI	-0,276; 0,376	-0,057; 0,817	-0,33 [-0,892; 0,232] 0,2408
<b>07</b>			
<b>1</b>			
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,05 (0,661)	0,16 (0,688)	-0,16 [-0,705; 0,380]
LS MW (SE)	0,06 (0,108)	0,14 (0,164)	LS MD
95 %-KI	-0,158; 0,274	-0,193; 0,464	-0,08 [-0,480; 0,325] 0,7016
<b>2</b>			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,00 (0,436)	0,42 (0,902)	-0,68 [-1,231; -0,123]
LS MW (SE)	-0,01 (0,097)	0,43 (0,147)	LS MD

Medizinischer Nutzen, medizinischer Zusatznutzen, Patientengruppen mit therap. bedeutsamem Zusatznutzen

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
95 %-KI	-0,200; 0,189	0,139; 0,729	-0,44 [-0,796; -0,083] 0,0166
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,07 (0,601)	0,24 (0,831)	-0,24 [-0,805; 0,325]
LS MW (SE)	0,07 (0,109)	0,24 (0,173)	LS MD
95 %-KI	-0,148; 0,288	-0,108; 0,585	-0,17 [-0,582; 0,245] 0,4176
2			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	Hedges' g
MW (SD)	-0,02 (0,511)	0,33 (0,796)	-0,57 [-1,102; -0,039]
LS MW (SE)	-0,02 (0,097)	0,32 (0,141)	LS MD
95 %-KI	-0,212; 0,175	0,042; 0,605	-0,34 [-0,692; 0,007] 0,0546
Änderung zu Woche 26			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	36/36 (100)	20/20 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,17 (0,609)	0,15 (0,875)	0,02 [-0,524; 0,570]
LS MW (SE)	0,18 (0,120)	0,12 (0,164)	LS MD
95 %-KI	-0,061; 0,423	-0,205; 0,454	0,06 [-0,362; 0,476] 0,7861
2			

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,24 (0,630)	0,11 (1,323)	0,15 [-0,388; 0,693]
LS MW (SE)	0,24 (0,128)	0,11 (0,217)	LS MD
95 %-KI	-0,013; 0,500	-0,318; 0,548	0,13 [-0,384; 0,641] 0,6182
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,38 (0,806)	-0,09 (0,539)	0,63 [-0,154; 1,424]
LS MW (SE)	0,38 (0,201)	-0,10 (0,247)	LS MD
95 %-KI	-0,040; 0,796	-0,611; 0,421	0,47 [-0,229; 1,176] 0,1753
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,12 (0,586)	0,25 (1,138)	-0,18 [-0,820; 0,462]
LS MW (SE)	0,12 (0,114)	0,23 (0,216)	LS MD
95 %-KI	-0,107; 0,350	-0,204; 0,665	-0,11 [-0,601; 0,384] 0,6594
3			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,27 (0,533)	0,20 (1,373)	0,07 [-0,562; 0,709]
LS MW (SE)	0,31 (0,190)	0,13 (0,254)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
95 %-KI	-0,077; 0,693	-0,384; 0,649	0,18 [-0,488; 0,840] 0,5935
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,29 (0,673)	-0,16 (1,015)	0,55 [0,001; 1,104]
LS MW (SE)	0,31 (0,128)	-0,21 (0,195)	LS MD
95 %-KI	0,051; 0,566	-0,599; 0,184	0,52 [0,035; 0,996] 0,0361
2			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,14 (0,560)	0,42 (1,121)	-0,36 [-0,904; 0,184]
LS MW (SE)	0,14 (0,122)	0,42 (0,185)	LS MD
95 %-KI	-0,102; 0,386	0,045; 0,785	-0,27 [-0,720; 0,174] 0,2258
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,29 (0,673)	-0,12 (1,054)	0,50 [-0,073; 1,070]
LS MW (SE)	0,29 (0,124)	-0,12 (0,197)	LS MD
95 %-KI	0,039; 0,536	-0,518; 0,273	0,41 [-0,062; 0,882] 0,0872
2			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	Hedges' g



PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
MW (SD)	0,14 (0,560)	0,33 (1,111)	-0,25 [-0,769; 0,279]
LS MW (SE)	0,16 (0,116)	0,29 (0,170)	LS MD
95 %-KI	-0,074; 0,392	-0,046; 0,634	-0,14 [-0,557; 0,286] 0,5231
Änderung zu Woche 38			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	36/36 (100)	20/20 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,00 (0,717)	0,20 (0,834)	-0,26 [-0,808; 0,289]
LS MW (SE)	0,02 (0,131)	0,17 (0,179)	LS MD
95 %-KI	-0,248; 0,279	-0,187; 0,531	-0,16 [-0,613; 0,299] 0,4936
2			
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,20 (0,645)	0,39 (1,037)	-0,24 [-0,780; 0,304]
LS MW (SE)	0,18 (0,111)	0,46 (0,187)	LS MD
95 %-KI	-0,045; 0,399	0,089; 0,838	-0,29 [-0,731; 0,157] 0,2007
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,12 (0,619)	0,00 (1,000)	0,15 [-0,616; 0,922]
LS MW (SE)	0,11 (0,218)	0,03 (0,269)	LS MD

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
95 %-KI	-0,348; 0,561	-0,534; 0,588	0,08 [-0,684; 0,843] 0,8295
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,09 (0,684)	0,25 (0,866)	-0,21 [-0,855; 0,428]
LS MW (SE)	0,10 (0,109)	0,21 (0,207)	LS MD
95 %-KI	-0,115; 0,322	-0,203; 0,628	-0,11 [-0,580; 0,362] 0,6446
3			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,15 (0,732)	0,53 (0,915)	-0,46 [-1,108; 0,180]
LS MW (SE)	0,15 (0,162)	0,54 (0,217)	LS MD
95 %-KI	-0,179; 0,478	0,100; 0,981	-0,39 [-0,957; 0,175] 0,1696
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,14 (0,718)	0,11 (0,937)	0,05 [-0,495; 0,589]
LS MW (SE)	0,13 (0,124)	0,12 (0,188)	LS MD
95 %-KI	-0,114; 0,382	-0,253; 0,501	0,01 [-0,453; 0,473] 0,9658
2			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	Hedges' g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
MW (SD)	0,09 (0,648)	0,47 (0,905)	-0,51 [-1,060; 0,036]
LS MW (SE)	0,08 (0,115)	0,50 (0,174)	LS MD
95 %-KI	-0,147; 0,313	0,147; 0,846	-0,41 [-0,835; 0,008] 0,0545
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,21 (0,750)	0,12 (0,993)	0,12 [-0,448; 0,679]
LS MW (SE)	0,19 (0,127)	0,17 (0,203)	LS MD
95 %-KI	-0,063; 0,449	-0,236; 0,576	0,02 [-0,462; 0,508] 0,9247
2			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,02 (0,597)	0,43 (0,870)	-0,57 [-1,106; -0,043]
LS MW (SE)	0,01 (0,103)	0,45 (0,150)	LS MD
95 %-KI	-0,196; 0,217	0,153; 0,756	-0,44 [-0,817; -0,070] 0,0208
Änderung zu Woche 52			
<b>01</b>			
1			
n/N (%)	36/36 (100)	20/20 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,06 (0,674)	0,15 (0,875)	-0,12 [-0,671; 0,423]
LS MW (SE)	0,09 (0,127)	0,08 (0,172)	LS MD

Medizinischer Nutzen, medizinischer Zusatznutzen, Patientengruppen mit therap. bedeutsamem Zusatznutzen

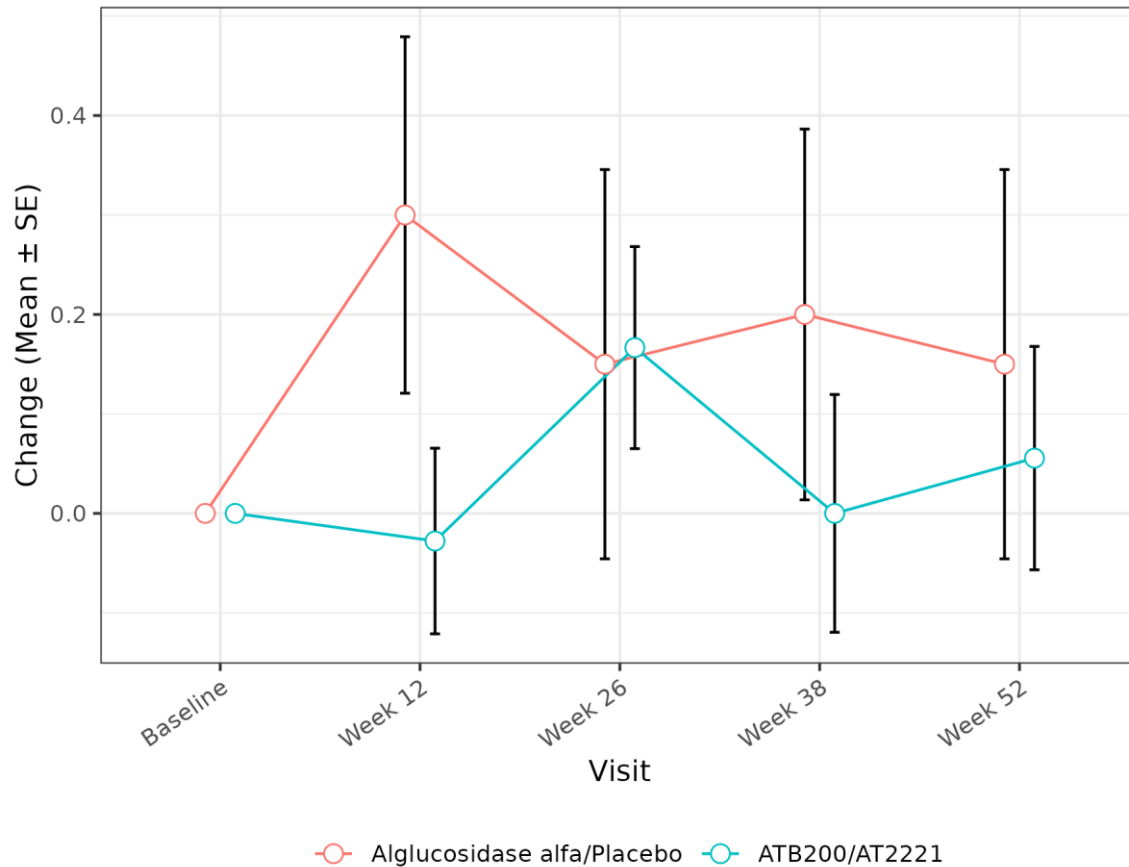
PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
95 %-KI	-0,162; 0,346	-0,262; 0,431	0,01 [-0,433; 0,447] 0,9735
2			
n/N (%)	49/49 (100)	18/18 (100)	Hedges' g
MW (SD)	-0,04 (0,706)	0,28 (1,447)	-0,33 [-0,872; 0,214]
LS MW (SE)	-0,07 (0,140)	0,36 (0,236)	LS MD
95 %-KI	-0,351; 0,207	-0,109; 0,834	-0,43 [-0,992; 0,124] 0,1248
<b>03</b>			
1			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,00 (0,966)	0,09 (1,221)	-0,08 [-0,850; 0,686]
LS MW (SE)	-0,10 (0,303)	0,23 (0,374)	LS MD
95 %-KI	-0,729; 0,536	-0,550; 1,012	-0,33 [-1,391; 0,735] 0,5272
2			
n/N (%)	43/43 (100)	12/12 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,00 (0,724)	0,33 (1,231)	-0,38 [-1,029; 0,260]
LS MW (SE)	0,01 (0,131)	0,29 (0,250)	LS MD
95 %-KI	-0,252; 0,277	-0,214; 0,792	-0,28 [-0,846; 0,294] 0,3350
3			
n/N (%)	26/26 (100)	15/15 (100)	Hedges' g

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
MW (SD)	0,00 (0,400)	0,20 (1,146)	-0,26 [-0,897; 0,379]
LS MW (SE)	0,01 (0,144)	0,17 (0,192)	LS MD
95 %-KI	-0,277; 0,306	-0,216; 0,566	-0,16 [-0,663; 0,342] 0,5216
<b>07</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,02 (0,811)	-0,05 (1,177)	0,08 [-0,462; 0,623]
LS MW (SE)	0,05 (0,146)	-0,11 (0,222)	LS MD
95 %-KI	-0,245; 0,340	-0,550; 0,339	0,15 [-0,392; 0,698] 0,5758
2			
n/N (%)	43/43 (100)	19/19 (100)	Hedges' g
MW (SD)	-0,02 (0,556)	0,47 (1,124)	-0,64 [-1,188; -0,084]
LS MW (SE)	-0,04 (0,121)	0,52 (0,183)	LS MD
95 %-KI	-0,284; 0,200	0,149; 0,883	-0,56 [-1,001; -0,114] 0,0147
<b>08</b>			
1			
n/N (%)	42/42 (100)	17/17 (100)	Hedges' g
MW (SD)	0,07 (0,778)	-0,12 (1,111)	0,21 [-0,354; 0,776]
LS MW (SE)	0,05 (0,132)	-0,07 (0,209)	LS MD

<b>PROPEL ITT</b>	<b>Behandlungsarm</b>		<b>Effektmaß [95 %-KI] p-Wert</b>
	<b>Cipaglucosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>	
95 %-KI	-0,211; 0,318	-0,493; 0,348	0,13 [-0,376; 0,628] 0,6171
2			
n/N (%)	43/43 (100)	21/21 (100)	Hedges' g
MW (SD)	-0,07 (0,593)	0,48 (1,167)	-0,66 [-1,190; -0,120]
LS MW (SE)	-0,09 (0,123)	0,51 (0,179)	LS MD
95 %-KI	-0,334; 0,158	0,154; 0,871	-0,60 [-1,045; -0,156] 0,0090
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

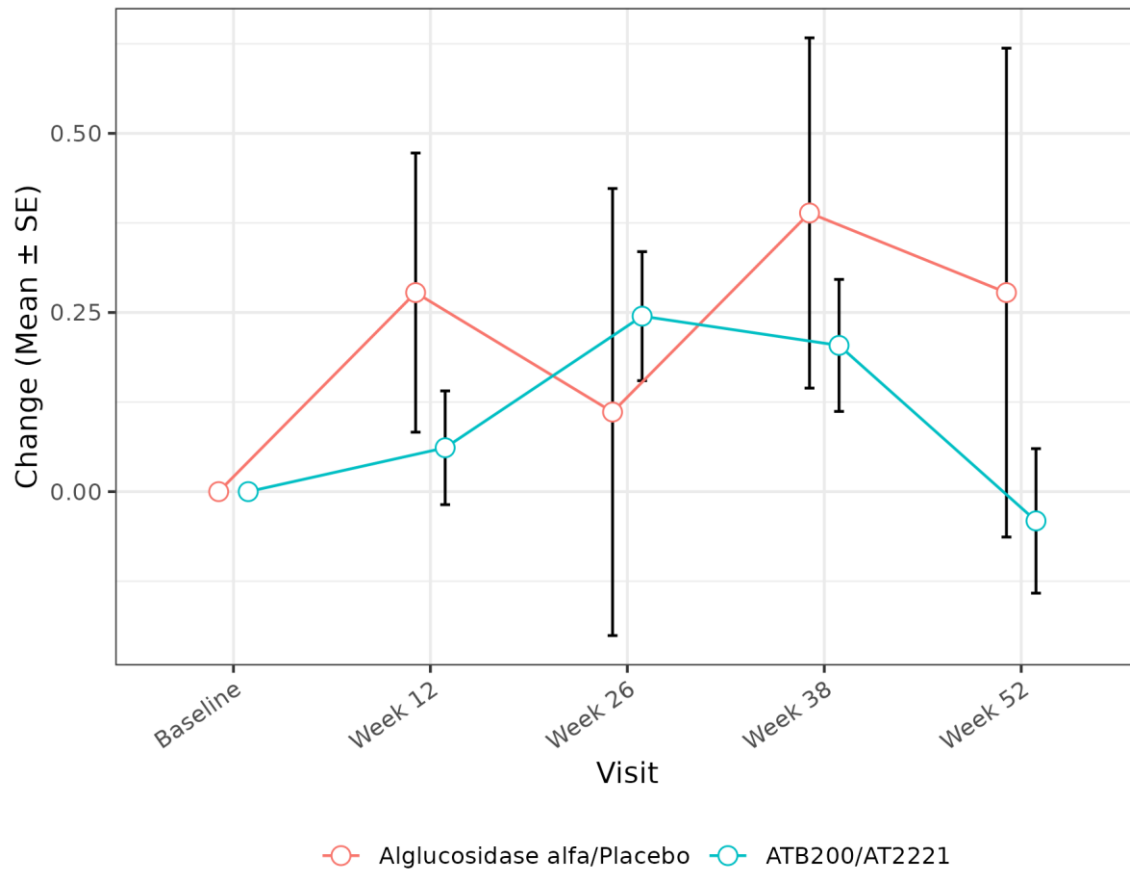
**35.7.1.10.08.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelschmerzen: Mittelwertveränderungsplots der Subgruppen****35.7.1.10.08.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelschmerzen Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 01\_1**

35.7.1.10.08 01\_1



**35.7.1.10.08.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelschmerzen  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 01\_2**

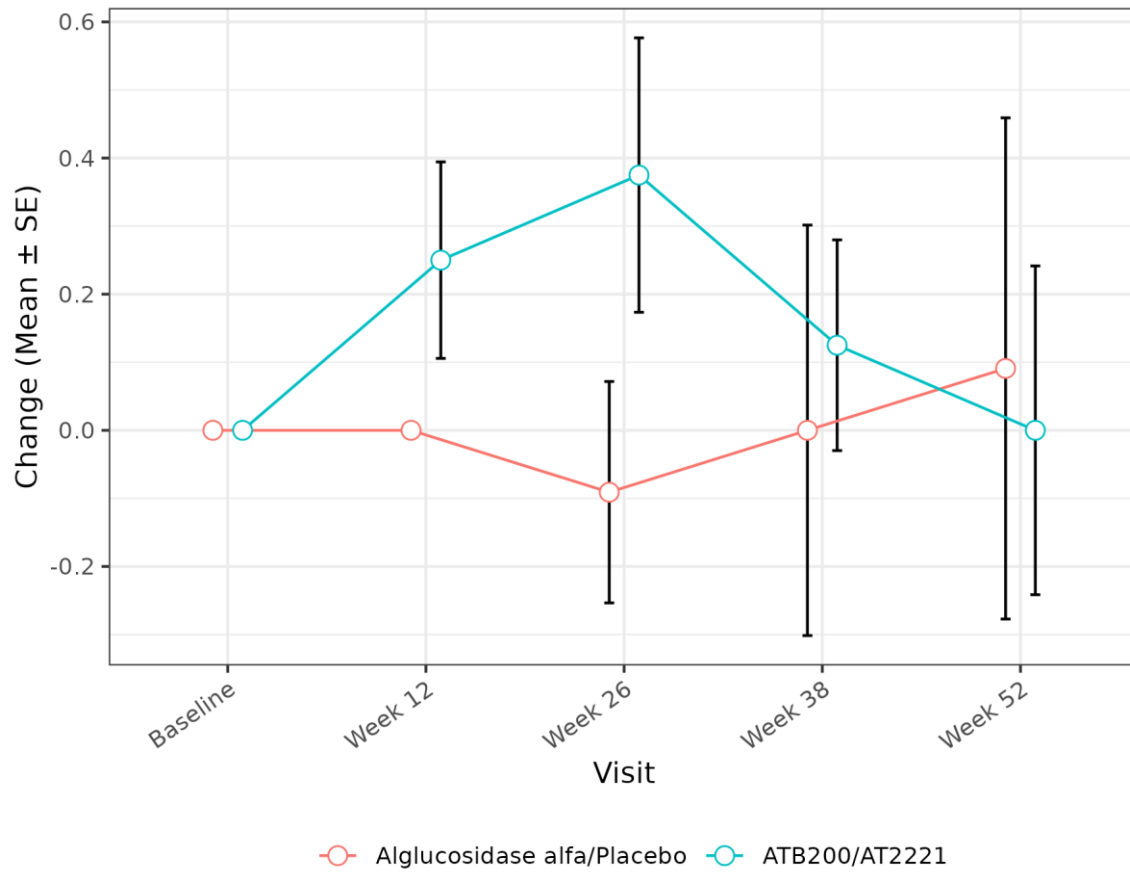
35.7.1.10.08 01\_2





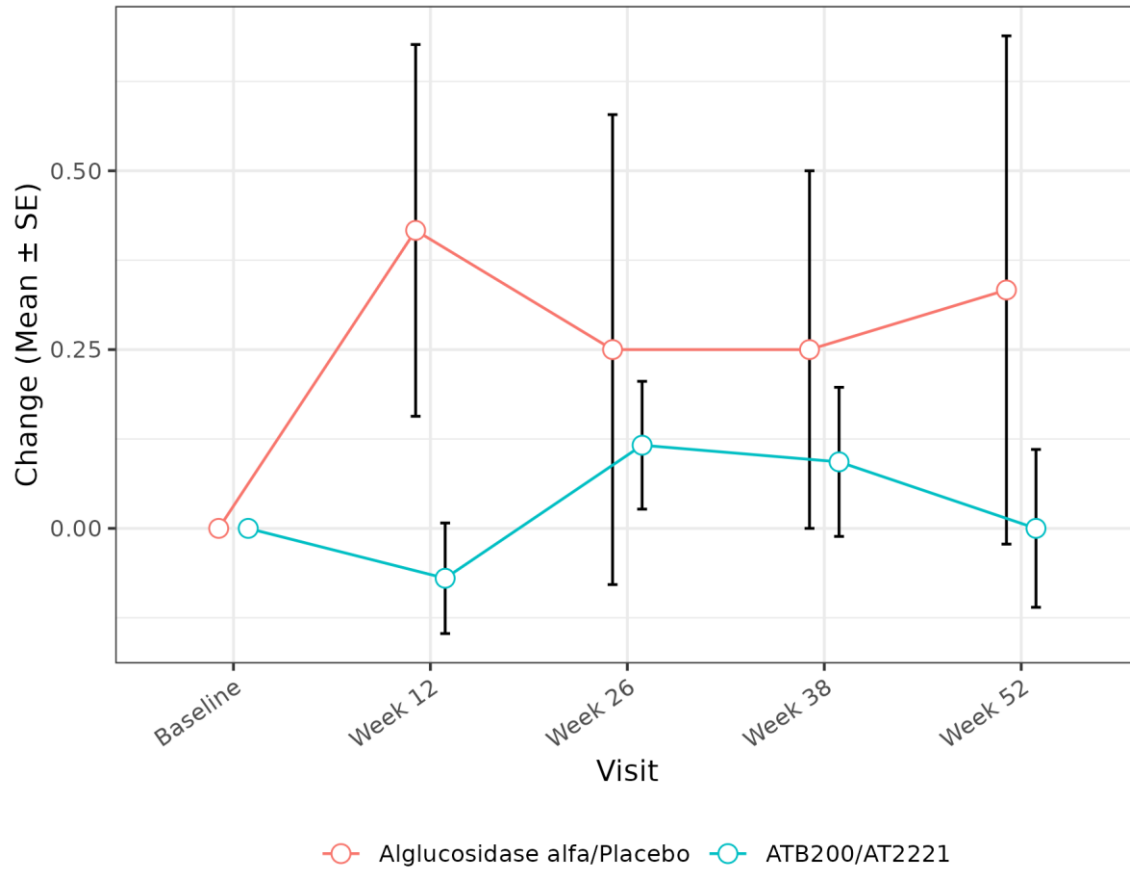
**35.7.1.10.08.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelschmerzen  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 03\_1**

35.7.1.10.08 03\_1

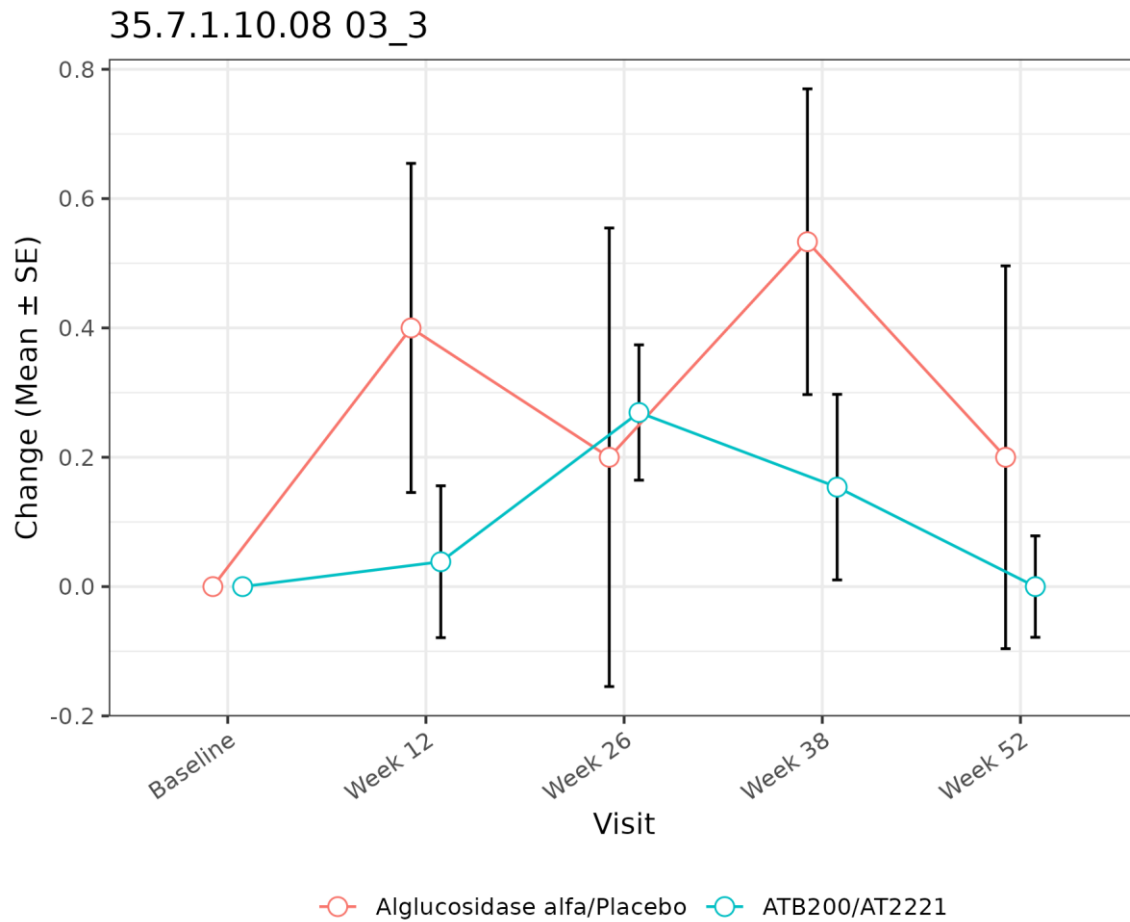


**35.7.1.10.08.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelschmerzen  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 03\_2**

35.7.1.10.08 03\_2

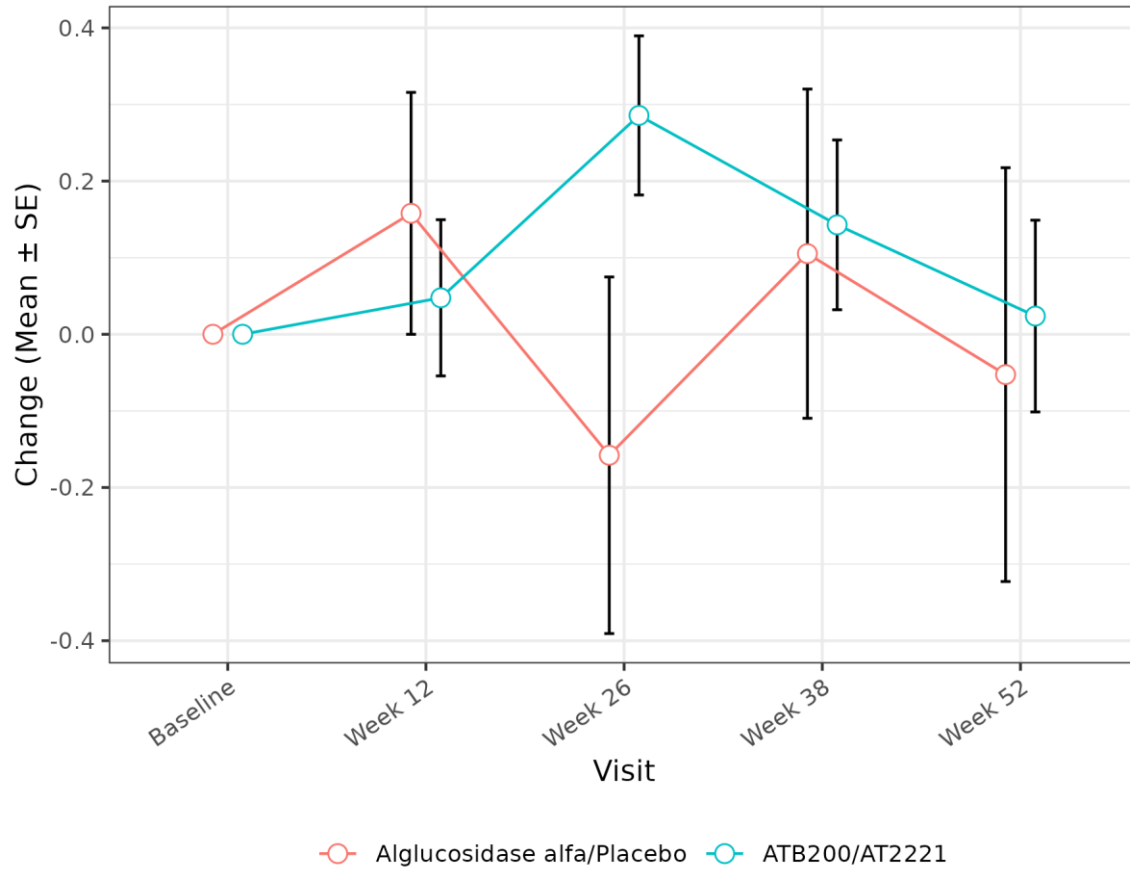


**35.7.1.10.08.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelschmerzen  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 03\_3**



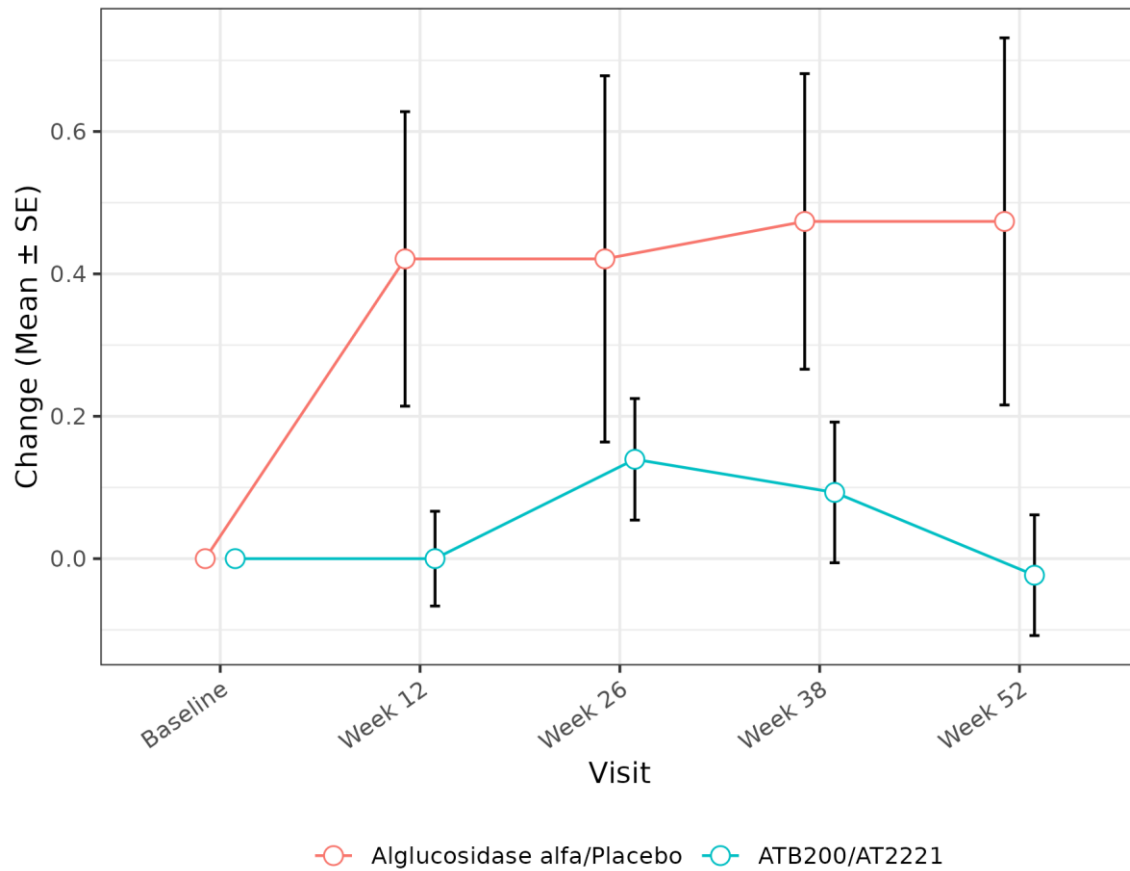
**35.7.1.10.08.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelschmerzen  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 07\_1**

35.7.1.10.08 07\_1



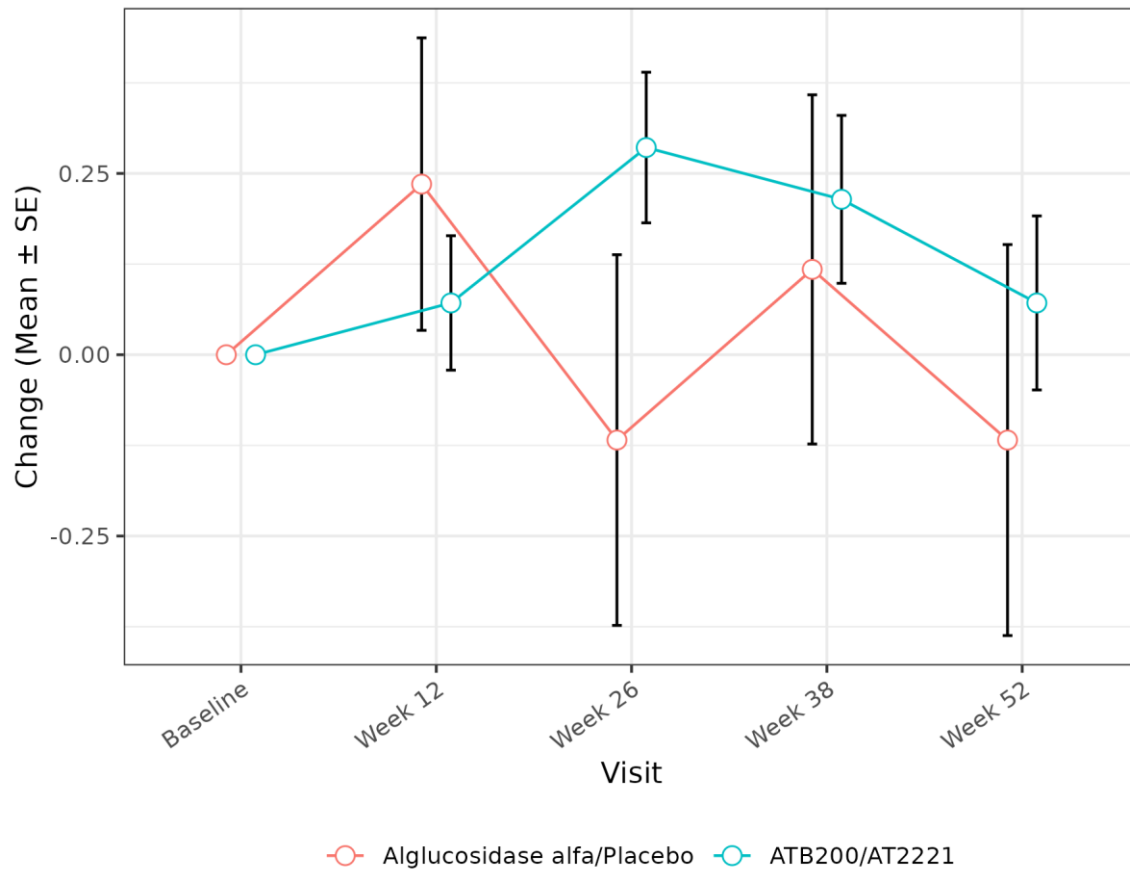
**35.7.1.10.08.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelschmerzen  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 07\_2**

35.7.1.10.08 07\_2



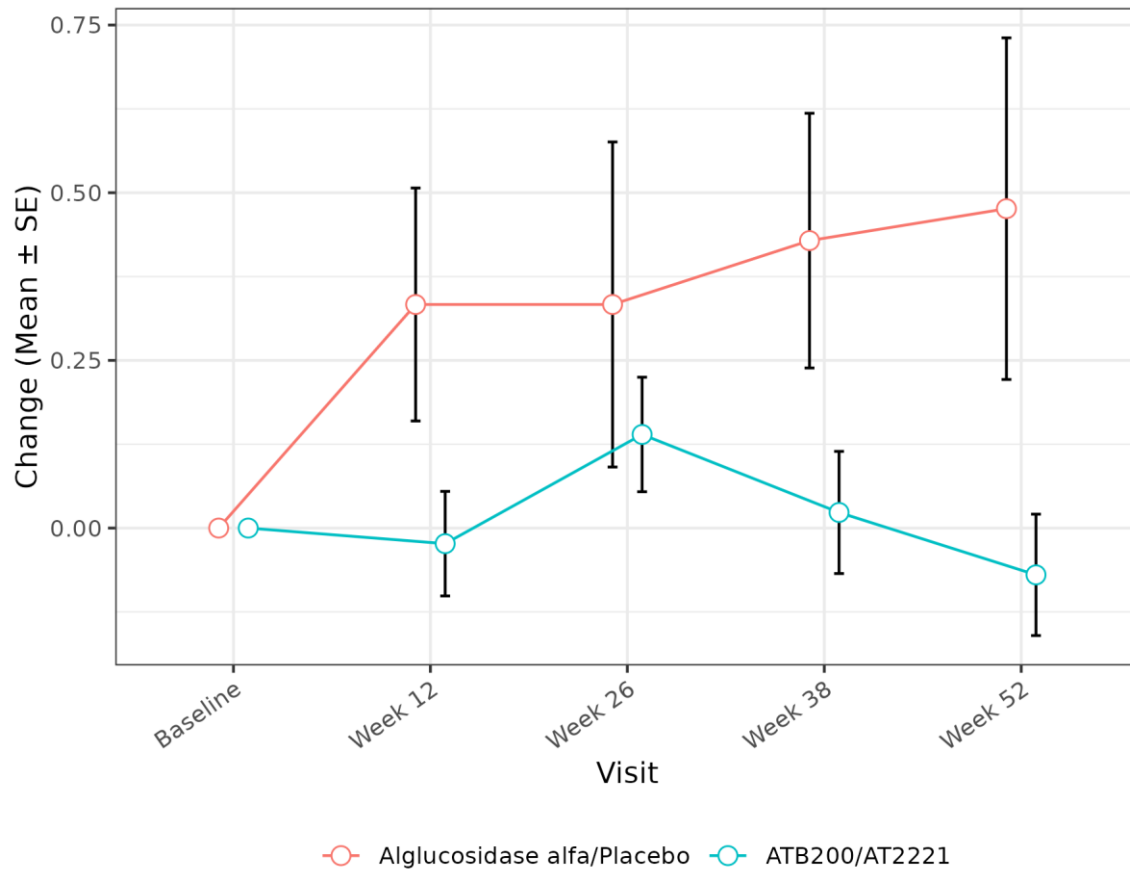
**35.7.1.10.08.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelschmerzen  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 08\_1**

35.7.1.10.08 08\_1



**35.7.1.10.08.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelschmerzen  
Mittelwertveränderungsplot in Subgruppe 08\_2**

35.7.1.10.08 08\_2



**35.7.1.10.09.2. Verbesserung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden****35.7.1.10.09.2. Verbesserung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden: Analyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Cipagluco­sidase alfa/Miglustat vs. Alglucosidase alfa/Placebo		
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
N	85	38	RR	OR	ARR
<b>Verbesserung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden</b>					
Non-Responder	36 (42%)	14 (37%)	1,15 [0,717; 1,833]	1,29 [0,551; 3,027]	0,05 [-0,121; 0,228]
LOCF	36 (42%)	14 (37%)	0,5691	0,5564	0,5508
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					



**35.7.1.10.09.2. Verbesserung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden: Interaktionstest**

<b>Verbesserung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	
Non-Responder	0,6178
LOCF	0,6178
02	
Non-Responder	0,2873
LOCF	0,2873
03	
Non-Responder	0,9315
LOCF	0,9315
04	
Non-Responder	0,7181
LOCF	0,7181
05	
Non-Responder	0,2809
LOCF	0,2809
06	
Non-Responder	0,6107
LOCF	0,6107
07	
Non-Responder	0,7849
LOCF	0,7849
08	
Non-Responder	0,4277
LOCF	0,4277
09	

<b>Verbesserung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
Non-Responder	0,7257
LOCF	0,7257
10	
Non-Responder	0,3346
LOCF	0,3346
<i>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

### 35.7.1.10.09.2. Verbesserung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden: Subgruppenanalyse

<b>Verbesserung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden</b>			
		<b>Cipaglusosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>07_1</b>			
Non-Responder	N	42	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	19 (45)	7 (37)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,20 [0,637; 2,277] p = 0,5675	
LOCF	N	42	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	19 (45)	7 (37)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,20 [0,637; 2,277] p = 0,5675	
<b>07_2</b>			
Non-Responder	N	43	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	17 (40)	7 (37)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,08 [0,535; 2,170] p = 0,8354	
LOCF	N	43	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	17 (40)	7 (37)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,08 [0,535; 2,170] p = 0,8354	
<b>08_1</b>			
Non-Responder	N	42	17
	Patienten mit Ereignis, n (%)	18 (43)	5 (29)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,27 [0,510; 3,163] p = 0,6066	
LOCF	N	42	17
	Patienten mit Ereignis, n (%)	18 (43)	5 (29)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,27 [0,510; 3,163] p = 0,6066	

<b>Verbesserung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidade alfa/Placebo</b>
<b>08_2</b>			
Non-Responder	N	43	21
	Patienten mit Ereignis, n (%)	18 (42)	9 (43)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,06 [0,570; 1,953] p = 0,8643	
LOCF	N	43	21
	Patienten mit Ereignis, n (%)	18 (42)	9 (43)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,06 [0,570; 1,953] p = 0,8643	
<b>05_1</b>			
Non-Responder	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	24 (37)	8 (27)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,42 [0,694; 2,910] p = 0,3372	
LOCF	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	24 (37)	8 (27)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,42 [0,694; 2,910] p = 0,3372	
<b>05_2</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_1</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_2</b>			
Non-Responder	N	67	32
	Patienten mit Ereignis, n (%)	29 (43)	13 (41)

<b>Verbesserung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden</b>			
		<b>Cipaglicosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,03 [0,642; 1,649] p = 0,9062	
LOCF	N	67	32
	Patienten mit Ereignis, n (%)	29 (43)	13 (41)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,03 [0,642; 1,649] p = 0,9062	
<b>03_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>03_2</b>			
Non-Responder	N	43	12
	Patienten mit Ereignis, n (%)	17 (40)	4 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,29 [0,553; 3,021] p = 0,5531	
LOCF	N	43	12
	Patienten mit Ereignis, n (%)	17 (40)	4 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,29 [0,553; 3,021] p = 0,5531	
<b>03_3</b>			
Non-Responder	N	26	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	13 (50)	7 (47)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,93 [0,493; 1,736] p = 0,8091	
LOCF	N	26	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	13 (50)	7 (47)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,93 [0,493; 1,736] p = 0,8091	
<b>01_1</b>			
Non-Responder	N	36	20

<b>Verbesserung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
	Patienten mit Ereignis, n (%)	14 (39)	6 (30)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,56 [0,672; 3,600] p = 0,3020	
LOCF	N	36	20
	Patienten mit Ereignis, n (%)	14 (39)	6 (30)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,56 [0,672; 3,600] p = 0,3020	
<b>01_2</b>			
Non-Responder	N	49	18
	Patienten mit Ereignis, n (%)	22 (45)	8 (44)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,88 [0,438; 1,784] p = 0,7298	
LOCF	N	49	18
	Patienten mit Ereignis, n (%)	22 (45)	8 (44)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,88 [0,438; 1,784] p = 0,7298	
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

**35.7.1.10.10.2. Verschlechterung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden****35.7.1.10.10.2. Verschlechterung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden: Analyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Cipaglicosidase alfa/Miglustat vs. Alglucosidase alfa/Placebo		
	Cipaglicosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
N	85	38	RR	OR	ARR
<b>Verschlechterung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden</b>					
Non-Responder	16 (19%)	12 (32%)	0,63 [0,333; 1,187] 0,1524	0,53 [0,219; 1,300] 0,1668	-0,12 [-0,285; 0,054] 0,1824
LOCF	15 (18%)	11 (29%)	0,65 [0,330; 1,259] 0,1990	0,56 [0,222; 1,399] 0,2126	-0,10 [-0,265; 0,064] 0,2302
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

**35.7.1.10.10.2. Verschlechterung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden: Interaktionstest**

<b>Verschlechterung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	
Non-Responder	0,3314
LOCF	0,3094
02	
Non-Responder	0,1894
LOCF	0,2090
03	
Non-Responder	0,1334
LOCF	0,0850
04	
Non-Responder	0,2902
LOCF	0,3027
05	
Non-Responder	0,0131
LOCF	0,0146
06	
Non-Responder	0,1481
LOCF	0,3072
07	
Non-Responder	0,0913
LOCF	0,1960
08	
Non-Responder	0,1634
LOCF	0,0634
09	



<b>Verschlechterung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
Non-Responder	0,1036
LOCF	0,1151
10	
Non-Responder	0,0550
LOCF	0,1682
<i>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

### 35.7.1.10.10.2. Verschlechterung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden: Subgruppenanalyse

Verschlechterung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden			
		Cipaglusosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo
<b>07_1</b>			
Non-Responder		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>07_2</b>			
	N	43	19
Non-Responder	Patienten mit Ereignis, n (%)	10 (23)	4 (21)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,05 [0,367; 3,022] p = 0,9239	
LOCF		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>08_1</b>			
Non-Responder		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>08_2</b>			
	N	43	21
Non-Responder	Patienten mit Ereignis, n (%)	11 (26)	6 (29)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,69 [0,304; 1,574] p = 0,3789	
	N	43	21
LOCF	Patienten mit Ereignis, n (%)	11 (26)	5 (24)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,86 [0,337; 2,195] p = 0,7533	
<b>05_1</b>			
	N	65	30
Non-Responder	Patienten mit Ereignis, n (%)	12 (18)	12 (40)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,49 [0,259; 0,943] p = 0,0326	

<b>Verschlechterung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
LOCF	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	11 (17)	11 (37)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,50 [0,251; 0,984] p = 0,0449	
<b>05_2</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_1</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_2</b>			
Non-Responder	N	67	32
	Patienten mit Ereignis, n (%)	14 (21)	8 (25)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,84 [0,392; 1,780] p = 0,6419	
LOCF	N	67	32
	Patienten mit Ereignis, n (%)	13 (19)	8 (25)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,76 [0,352; 1,647] p = 0,4890	
<b>03_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>03_2</b>			
Non-Responder	N	43	12
	Patienten mit Ereignis, n (%)	10 (23)	4 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,70 [0,271; 1,803] p = 0,4591	

<b>Verschlechterung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden</b>			
		<b>Cipagluco­sidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
LOCF	N	43	12
	Patienten mit Ereignis, n (%)	10 (23)	4 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,70 [0,271; 1,803] p = 0,4591	
<b>03_3</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>01_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>01_2</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

**35.7.1.10.11.2. Keine Veränderung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden****35.7.1.10.11.2. Keine Veränderung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden: Analyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Cipaglucosidase alfa/Miglustat vs. Alglucosidase alfa/Placebo Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	RR	OR	ARR
N	85	38			
<b>Keine Veränderung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden</b>					
Non-Responder	33 (39%)	12 (32%)	1,19 [0,707; 2,011] 0,5103	1,32 [0,580; 3,018] 0,5059	0,06 [-0,118; 0,243] 0,4977
LOCF	34 (40%)	13 (34%)	1,14 [0,694; 1,857] 0,6141	1,23 [0,546; 2,792] 0,6126	0,05 [-0,135; 0,230] 0,6083
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

**35.7.1.10.11.2. Keine Veränderung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden: Interaktionstest**

<b>Keine Veränderung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	
Non-Responder	0,2067
LOCF	0,1643
02	
Non-Responder	0,3320
LOCF	0,3331
03	
Non-Responder	0,1142
LOCF	0,1995
04	
Non-Responder	0,1727
LOCF	0,3335
05	
Non-Responder	0,5088
LOCF	0,5522
06	
Non-Responder	0,1875
LOCF	0,2629
07	
Non-Responder	0,1646
LOCF	0,3494
08	
Non-Responder	0,8299
LOCF	0,5372

<b>Keine Veränderung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
09	
Non-Responder	0,7067
LOCF	0,7830
10	
Non-Responder	0,1936
LOCF	0,6311
<i>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

### 35.7.1.10.11.2. Keine Veränderung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden: Subgruppenanalyse

<b>Keine Veränderung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden</b>			
		<b>Cipaglusosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>07_1</b>			
Non-Responder	N	42	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	17 (40)	4 (21)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,77 [0,736; 4,258] p = 0,2020	
LOCF	N	42	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	17 (40)	5 (26)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,42 [0,660; 3,040] p = 0,3718	
<b>07_2</b>			
Non-Responder	N	43	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	16 (37)	8 (42)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,91 [0,470; 1,753] p = 0,7725	
LOCF	N	43	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	17 (40)	8 (42)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,97 [0,507; 1,844] p = 0,9196	
<b>08_1</b>			
Non-Responder	N	42	17
	Patienten mit Ereignis, n (%)	19 (45)	6 (35)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,38 [0,679; 2,805] p = 0,3727	
LOCF	N	42	17
	Patienten mit Ereignis, n (%)	20 (48)	6 (35)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,41 [0,689; 2,870] p = 0,3495	



<b>Keine Veränderung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden</b>			
		<b>Cipaglucosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>08_2</b>			
Non-Responder	N	43	21
	Patienten mit Ereignis, n (%)	14 (33)	6 (29)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,26 [0,591; 2,708] p = 0,5455	
LOCF	N	43	21
	Patienten mit Ereignis, n (%)	14 (33)	7 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,04 [0,527; 2,048] p = 0,9130	
<b>05_1</b>			
Non-Responder	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	29 (45)	10 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,28 [0,731; 2,224] p = 0,3917	
LOCF	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	30 (46)	11 (37)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,20 [0,715; 2,013] p = 0,4910	
<b>05_2</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_1</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_2</b>			
Non-Responder	N	67	32
	Patienten mit Ereignis, n (%)	24 (36)	11 (34)

<b>Keine Veränderung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidade alfa/Placebo</b>
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,09 [0,616; 1,919] p = 0,7740	
LOCF	N	67	32
	Patienten mit Ereignis, n (%)	25 (37)	11 (34)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,14 [0,654; 1,993] p = 0,6411	
<b>03_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>03_2</b>			
Non-Responder	N	43	12
	Patienten mit Ereignis, n (%)	16 (37)	4 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,03 [0,423; 2,507] p = 0,9482	
LOCF	N	43	12
	Patienten mit Ereignis, n (%)	16 (37)	4 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,03 [0,423; 2,507] p = 0,9482	
<b>03_3</b>			
Non-Responder	N	26	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	11 (42)	2 (13)
	RR [95 %-KI] p-Wert	3,43 [0,804; 14,622] p = 0,0959	
LOCF	N	26	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	12 (46)	3 (20)
	RR [95 %-KI] p-Wert	2,45 [0,842; 7,155] p = 0,1000	
<b>01_1</b>			
Non-Responder	N	36	20

<b>Keine Veränderung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden</b>			
		<b>Cipagluco- sidadase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
	Patienten mit Ereignis, n (%)	13 (36)	8 (40)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,84 [0,450; 1,576] p = 0,5914	
LOCF	N	36	20
	Patienten mit Ereignis, n (%)	14 (39)	9 (45)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,80 [0,455; 1,398] p = 0,4300	
<b>01_2</b>			
Non-Responder	N	49	18
	Patienten mit Ereignis, n (%)	20 (41)	4 (22)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,99 [0,830; 4,792] p = 0,1228	
LOCF	N	49	18
	Patienten mit Ereignis, n (%)	20 (41)	4 (22)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,99 [0,830; 4,792] p = 0,1228	
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

**35.7.1.10.12.2. Verbesserung im SGI - Atemanstrengung****35.7.1.10.12.2. Verbesserung im SGI - Atemanstrengung: Analyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Cipaglucosidase alfa/Miglustat vs. Alglucosidase alfa/Placebo Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
	Cipaglucosida se alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	RR	OR	ARR
N	85	38			
<b>Verbesserung im SGI - Atemanstrengung</b>					
Non-Responder	18 (21%)	8 (21%)	0,99 [0,478; 2,049] 0,9777	0,99 [0,372; 2,615] 0,9776	-0,00 [-0,154; 0,150] 0,9776
LOCF	19 (22%)	8 (21%)	1,05 [0,510; 2,164] 0,8929	1,07 [0,407; 2,804] 0,8924	0,01 [-0,143; 0,165] 0,8916
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

**35.7.1.10.12.2. Verbesserung im SGI - Atemanstrengung: Interaktionstest**

<b>Verbesserung im SGI - Atemanstrengung: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	
Non-Responder	0,9696
LOCF	0,8482
02	
Non-Responder	0,7990
LOCF	0,8089
03	
Non-Responder	0,1095
LOCF	0,1592
04	
Non-Responder	0,2117
LOCF	0,1789
05	
Non-Responder	0,2848
LOCF	0,2369
06	
Non-Responder	0,8833
LOCF	0,9771
07	
Non-Responder	0,7973
LOCF	0,9474
08	
Non-Responder	0,9633
LOCF	0,8635
09	

<b>Verbesserung im SGI - Atemanstrengung: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
Non-Responder	0,3921
LOCF	0,3569
10	
Non-Responder	0,2201
LOCF	0,2292
<i>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

**35.7.1.10.12.2. Verbesserung im SGI - Atemanstrengung: Subgruppenanalyse**

<b>Verbesserung im SGI - Atemanstrengung</b>			
		<b>Cipagluco- sidas- e alfa/Miglustat</b>	<b>Algluco- sidas- e alfa/Placebo</b>
<b>07_1</b>			
Non-Responder	N	42	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	12 (29)	5 (26)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,06 [0,449; 2,509] p = 0,8920	
LOCF	N	42	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	12 (29)	5 (26)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,06 [0,449; 2,509] p = 0,8920	
<b>07_2</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>08_1</b>			
Non-Responder	N	42	17
	Patienten mit Ereignis, n (%)	10 (24)	4 (24)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,09 [0,383; 3,088] p = 0,8749	
LOCF	N	42	17
	Patienten mit Ereignis, n (%)	11 (26)	4 (24)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,13 [0,395; 3,209] p = 0,8247	
<b>08_2</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>05_1</b>			
Non-Responder	N	65	30

<b>Verbesserung im SGI - Atemanstrengung</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Algluco- sidade alfa/Placebo</b>
	Patienten mit Ereignis, n (%)	12 (18)	4 (13)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,41 [0,480; 4,146] p = 0,5321	
LOCF	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	13 (20)	4 (13)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,54 [0,530; 4,463] p = 0,4279	
<b>05_2</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_1</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_2</b>			
Non-Responder	N	67	32
	Patienten mit Ereignis, n (%)	16 (24)	8 (25)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,88 [0,429; 1,824] p = 0,7396	
LOCF	N	67	32
	Patienten mit Ereignis, n (%)	17 (25)	8 (25)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,96 [0,469; 1,955] p = 0,9047	
<b>03_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>03_2</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		



<b>Verbesserung im SGI - Atemanstrengung</b>			
		<b>Cipagluco­sidase alfa/Miglustat</b>	<b>Algluco­sidase alfa/Placebo</b>
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>03_3</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>01_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>01_2</b>			
Non-Responder	N	49	18
	Patienten mit Ereignis, n (%)	13 (27)	5 (28)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,87 [0,361; 2,093] p = 0,7553	
LOCF	N	49	18
	Patienten mit Ereignis, n (%)	13 (27)	5 (28)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,87 [0,361; 2,093] p = 0,7553	
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

**35.7.1.10.13.2. Verschlechterung im SGI - Atemanstrengung****35.7.1.10.13.2. Verschlechterung im SGI - Atemanstrengung: Analyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Cipaglucosidase alfa/Miglustat vs. Alglucosidase alfa/Placebo Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
	Cipaglucosida se alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	RR	OR	ARR
N	85	38			
<b>Verschlechterung im SGI - Atemanstrengung</b>					
Non-Responder	11 (13%)	5 (13%)	0,99 [0,357; 2,767] 0,9902	0,99 [0,315; 3,132] 0,9901	-0,00 [-0,130; 0,128] 0,9901
LOCF	7 (8%)	4 (11%)	0,79 [0,229; 2,747] 0,7146	0,78 [0,208; 2,912] 0,7097	-0,02 [-0,134; 0,092] 0,7190
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

**35.7.1.10.13.2. Verschlechterung im SGI - Atemanstrengung: Interaktionstest**

<b>Verschlechterung im SGI - Atemanstrengung: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	
Non-Responder	0,1829
LOCF	0,1571
02	
Non-Responder	0,0841
LOCF	0,1653
03	
Non-Responder	0,0217
LOCF	0,0082
04	
Non-Responder	0,8463
LOCF	0,9178
05	
Non-Responder	0,1861
LOCF	0,1452
06	
Non-Responder	0,2038
LOCF	0,3530
07	
Non-Responder	0,0028
LOCF	0,0002
08	
Non-Responder	0,1142
LOCF	0,0266
09	

<b>Verschlechterung im SGI - Atemanstrengung: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
Non-Responder	0,2325
LOCF	0,1649
10	
Non-Responder	0,0104
LOCF	0,0065
<i>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

**35.7.1.10.13.2. Verschlechterung im SGI - Atemanstrengung: Subgruppenanalyse**

<b>Verschlechterung im SGI - Atemanstrengung</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>07_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>07_2</b>			
Non-Responder	N	43	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	10 (23)	1 (5)
	RR [95 %-KI] p-Wert	4,48 [0,582; 34,536] p = 0,1496	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>05_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>05_2</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_1</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_2</b>			
Non-Responder	N	67	32
	Patienten mit Ereignis, n (%)	10 (15)	2 (6)
	RR [95 %-KI] p-Wert	2,63 [0,619; 11,172] p = 0,1901	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>03_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		

<b>Verschlechterung im SGI - Atemanstrengung</b>		
	<b>Cipaglicosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>03_2</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>03_3</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>01_1</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>01_2</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>		

**35.7.1.10.14.2. Keine Veränderung im SGI - Atemanstrengung****35.7.1.10.14.2. Keine Veränderung im SGI - Atemanstrengung: Analyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Cipaglucosidase alfa/Miglustat vs. Alglucosidase alfa/Placebo Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
	Cipaglucosida se alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	RR	OR	ARR
N	85	38			
<b>Keine Veränderung im SGI - Atemanstrengung</b>					
Non-Responder	56 (66%)	25 (66%)	1,00 [0,765; 1,319] 0,9741	1,01 [0,449; 2,289] 0,9743	0,00 [-0,179; 0,185] 0,9743
LOCF	59 (69%)	26 (68%)	1,01 [0,788; 1,306] 0,9103	1,05 [0,453; 2,429] 0,9107	0,01 [-0,167; 0,187] 0,9110
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

**35.7.1.10.14.2. Keine Veränderung im SGI - Atemanstrengung: Interaktionstest**

<b>Keine Veränderung im SGI - Atemanstrengung: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	
Non-Responder	0,3343
LOCF	0,2755
02	
Non-Responder	0,2890
LOCF	0,2904
03	
Non-Responder	0,0090
LOCF	0,0423
04	
Non-Responder	0,1684
LOCF	0,1885
05	
Non-Responder	0,5630
LOCF	0,5786
06	
Non-Responder	0,6417
LOCF	0,6914
07	
Non-Responder	0,0823
LOCF	0,1691
08	
Non-Responder	0,2794
LOCF	0,3099
09	



<b>Keine Veränderung im SGI - Atemanstrengung: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
Non-Responder	0,4762
LOCF	0,3996
10	
Non-Responder	0,1067
LOCF	0,2962
<i>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

**35.7.1.10.14.2. Keine Veränderung im SGI - Atemanstrengung: Subgruppenanalyse**

<b>Keine Veränderung im SGI - Atemanstrengung</b>			
		<b>Cipaglucosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>07_1</b>			
Non-Responder	N	42	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	29 (69)	10 (53)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,32 [0,828; 2,103] p = 0,2439	
LOCF	N	42	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	30 (71)	11 (58)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,23 [0,812; 1,867] p = 0,3272	
<b>07_2</b>			
Non-Responder	N	43	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	27 (63)	15 (79)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,81 [0,581; 1,130] p = 0,2145	
LOCF	N	43	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	29 (67)	15 (79)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,87 [0,635; 1,189] p = 0,3798	
<b>08_1</b>			
Non-Responder	N	42	17
	Patienten mit Ereignis, n (%)	27 (64)	9 (53)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,24 [0,748; 2,070] p = 0,4009	
LOCF	N	42	17
	Patienten mit Ereignis, n (%)	27 (64)	9 (53)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,24 [0,748; 2,070] p = 0,4009	
<b>08_2</b>			

<b>Keine Veränderung im SGI - Atemanstrengung</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
Non-Responder	N	43	21
	Patienten mit Ereignis, n (%)	29 (67)	16 (76)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,98 [0,719; 1,331] p = 0,8883	
LOCF	N	43	21
	Patienten mit Ereignis, n (%)	32 (74)	17 (81)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,99 [0,769; 1,267] p = 0,9164	
<b>05_1</b>			
Non-Responder	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	44 (68)	21 (70)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,96 [0,727; 1,281] p = 0,8049	
LOCF	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	47 (72)	22 (73)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,98 [0,757; 1,265] p = 0,8704	
<b>05_2</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_1</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_2</b>			
Non-Responder	N	67	32
	Patienten mit Ereignis, n (%)	41 (61)	22 (69)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,90 [0,663; 1,223] p = 0,5016	

<b>Keine Veränderung im SGI - Atemanstrengung</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidade alfa/Placebo</b>
LOCF	N	67	32
	Patienten mit Ereignis, n (%)	43 (64)	22 (69)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,95 [0,706; 1,275] p = 0,7266	
<b>03_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	N	16	11
	Patienten mit Ereignis, n (%)	10 (62)	9 (82)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,86 [0,530; 1,383] p = 0,5249	
<b>03_2</b>			
Non-Responder	N	43	12
	Patienten mit Ereignis, n (%)	27 (63)	10 (83)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,75 [0,507; 1,097] p = 0,1360	
LOCF	N	43	12
	Patienten mit Ereignis, n (%)	29 (67)	10 (83)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,79 [0,543; 1,153] p = 0,2222	
<b>03_3</b>			
Non-Responder	N	26	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	20 (77)	6 (40)
	RR [95 %-KI] p-Wert	2,02 [0,985; 4,140] p = 0,0551	
LOCF	N	26	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	20 (77)	7 (47)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,70 [0,909; 3,166] p = 0,0972	

<b>Keine Veränderung im SGI - Atemanstrengung</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidade alfa/Placebo</b>
<b>01_1</b>			
Non-Responder	N	36	20
	Patienten mit Ereignis, n (%)	24 (67)	15 (75)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,88 [0,625; 1,229] p = 0,4448	
LOCF	N	36	20
	Patienten mit Ereignis, n (%)	26 (72)	16 (80)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,88 [0,659; 1,184] p = 0,4067	
<b>01_2</b>			
Non-Responder	N	49	18
	Patienten mit Ereignis, n (%)	32 (65)	10 (56)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,21 [0,736; 1,980] p = 0,4570	
LOCF	N	49	18
	Patienten mit Ereignis, n (%)	33 (67)	10 (56)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,24 [0,758; 2,031] p = 0,3903	
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

**35.7.1.10.15.2. Verbesserung im SGI - Muskelkraft****35.7.1.10.15.2. Verbesserung im SGI - Muskelkraft: Analyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Cipagluco­sidase alfa/Miglustat vs. Alglucosidase alfa/Placebo		
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
N	85	38	RR	OR	ARR
<b>Verbesserung im SGI - Muskelkraft</b>					
Non-Responder	28 (33%)	11 (29%)	1,19 [0,667; 2,130]	1,31 [0,547; 3,136]	0,05 [-0,116; 0,224]
LOCF	28 (33%)	11 (29%)	0,5542	0,5454	0,5355
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

**35.7.1.10.15.2. Verbesserung im SGI - Muskelkraft: Interaktionstest**

<b>Verbesserung im SGI - Muskelkraft: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	
Non-Responder	0,3190
LOCF	0,3190
02	
Non-Responder	0,2930
LOCF	0,2930
03	
Non-Responder	0,8332
LOCF	0,8332
04	
Non-Responder	0,6103
LOCF	0,6103
05	
Non-Responder	0,9067
LOCF	0,9067
06	
Non-Responder	0,9539
LOCF	0,9539
07	
Non-Responder	0,6476
LOCF	0,6476
08	
Non-Responder	0,0278
LOCF	0,0278
09	

<b>Verbesserung im SGI - Muskelkraft: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
Non-Responder	0,9753
LOCF	0,9753
10	
Non-Responder	0,6575
LOCF	0,6575
<i>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	



**35.7.1.10.15.2. Verbesserung im SGI - Muskelkraft: Subgruppenanalyse**

<b>Verbesserung im SGI - Muskelkraft</b>			
		<b>Cipaglucosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>07_1</b>			
Non-Responder	N	42	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	17 (40)	6 (32)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,34 [0,636; 2,840] p = 0,4379	
LOCF	N	42	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	17 (40)	6 (32)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,34 [0,636; 2,840] p = 0,4379	
<b>07_2</b>			
Non-Responder	N	43	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	11 (26)	5 (26)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,00 [0,397; 2,506] p = 0,9949	
LOCF	N	43	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	11 (26)	5 (26)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,00 [0,397; 2,506] p = 0,9949	
<b>08_1</b>			
Non-Responder	N	42	17
	Patienten mit Ereignis, n (%)	18 (43)	3 (18)
	RR [95 %-KI] p-Wert	2,39 [0,738; 7,730] p = 0,1464	
LOCF	N	42	17
	Patienten mit Ereignis, n (%)	18 (43)	3 (18)
	RR [95 %-KI] p-Wert	2,39 [0,738; 7,730] p = 0,1464	
<b>08_2</b>			

<b>Verbesserung im SGI - Muskelkraft</b>			
		<b>Cipaglicosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
Non-Responder	N	43	21
	Patienten mit Ereignis, n (%)	10 (23)	8 (38)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,68 [0,307; 1,522] p = 0,3510	
LOCF	N	43	21
	Patienten mit Ereignis, n (%)	10 (23)	8 (38)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,68 [0,307; 1,522] p = 0,3510	
<b>05_1</b>			
Non-Responder	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	20 (31)	8 (27)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,23 [0,605; 2,514] p = 0,5645	
LOCF	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	20 (31)	8 (27)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,23 [0,605; 2,514] p = 0,5645	
<b>05_2</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_1</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_2</b>			
Non-Responder	N	67	32
	Patienten mit Ereignis, n (%)	23 (34)	10 (31)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,08 [0,585; 2,001] p = 0,8006	

<b>Verbesserung im SGI - Muskelkraft</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
LOCF	N	67	32
	Patienten mit Ereignis, n (%)	23 (34)	10 (31)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,08 [0,585; 2,001] p = 0,8006	
<b>03_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>03_2</b>			
Non-Responder	N	43	12
	Patienten mit Ereignis, n (%)	12 (28)	3 (25)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,31 [0,447; 3,832] p = 0,6234	
LOCF	N	43	12
	Patienten mit Ereignis, n (%)	12 (28)	3 (25)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,31 [0,447; 3,832] p = 0,6234	
<b>03_3</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>01_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>01_2</b>			
Non-Responder	N	49	18
	Patienten mit Ereignis, n (%)	19 (39)	8 (44)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,86 [0,431; 1,721] p = 0,6729	

<b>Verbesserung im SGI - Muskelkraft</b>			
		<b>Cipaglicosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
LOCF	N	49	18
	Patienten mit Ereignis, n (%)	19 (39)	8 (44)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,86 [0,431; 1,721] p = 0,6729	
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

**35.7.1.10.16.2. Verschlechterung im SGI - Muskelkraft****35.7.1.10.16.2. Verschlechterung im SGI - Muskelkraft: Analyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Cipaglucosidase alfa/Miglustat vs. Alglucosidase alfa/Placebo Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	RR	OR	ARR
N	85	38			
<b>Verschlechterung im SGI - Muskelkraft</b>					
Non-Responder	17 (20%)	12 (32%)	0,67 [0,367; 1,241] 0,2054	0,57 [0,235; 1,393] 0,2189	-0,10 [-0,270; 0,067] 0,2375
LOCF	15 (18%)	11 (29%)	0,65 [0,338; 1,248] 0,1953	0,55 [0,217; 1,392] 0,2068	-0,10 [-0,261; 0,062] 0,2285
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

**35.7.1.10.16.2. Verschlechterung im SGI - Muskelkraft: Interaktionstest**

<b>Verschlechterung im SGI - Muskelkraft: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	
Non-Responder	0,4285
LOCF	0,5201
02	
Non-Responder	0,2625
LOCF	0,3097
03	
Non-Responder	0,9716
LOCF	0,9404
04	
Non-Responder	0,1379
LOCF	0,2104
05	
Non-Responder	0,8323
LOCF	0,8034
06	
Non-Responder	0,8304
LOCF	0,8041
07	
Non-Responder	0,9487
LOCF	0,4677
08	
Non-Responder	0,8868
LOCF	0,6696
09	

<b>Verschlechterung im SGI - Muskelkraft: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
Non-Responder	0,2668
LOCF	0,4608
10	
Non-Responder	0,2578
LOCF	0,6305
<i>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

**35.7.1.10.16.2. Verschlechterung im SGI - Muskelkraft: Subgruppenanalyse**

<b>Verschlechterung im SGI - Muskelkraft</b>			
		<b>Cipaglicosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>07_1</b>			
Non-Responder	N	42	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	10 (24)	7 (37)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,72 [0,331; 1,547] p = 0,3954	
LOCF	N	42	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	10 (24)	6 (32)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,85 [0,369; 1,950] p = 0,6988	
<b>07_2</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>08_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>08_2</b>			
Non-Responder	N	43	21
	Patienten mit Ereignis, n (%)	11 (26)	8 (38)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,56 [0,285; 1,121] p = 0,1023	
LOCF	N	43	21
	Patienten mit Ereignis, n (%)	10 (23)	7 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,56 [0,251; 1,255] p = 0,1594	
<b>05_1</b>			
Non-Responder	N	65	30



<b>Verschlechterung im SGI - Muskelkraft</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
	Patienten mit Ereignis, n (%)	15 (23)	11 (37)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,66 [0,353; 1,250] p = 0,2050	
LOCF	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	13 (20)	10 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,64 [0,321; 1,257] p = 0,1929	
<b>05_2</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_1</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_2</b>			
Non-Responder	N	67	32
	Patienten mit Ereignis, n (%)	13 (19)	8 (25)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,79 [0,377; 1,660] p = 0,5348	
LOCF	N	67	32
	Patienten mit Ereignis, n (%)	11 (16)	8 (25)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,64 [0,297; 1,395] p = 0,2644	
<b>03_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>03_2</b>			
Non-Responder	N	43	12

<b>Verschlechterung im SGI - Muskelkraft</b>			
		<b>Cipagluco­sidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
	Patienten mit Ereignis, n (%)	10 (23)	5 (42)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,56 [0,244; 1,281] p = 0,1694	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>03_3</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>01_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>01_2</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

**35.7.1.10.17.2. Keine Veränderung im SGI - Muskelkraft****35.7.1.10.17.2. Keine Veränderung im SGI - Muskelkraft: Analyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Cipaglicosidase alfa/Miglustat vs. Alglucosidase alfa/Placebo Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
	Cipaglicosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	RR	OR	ARR
N	85	38			
<b>Keine Veränderung im SGI - Muskelkraft</b>					
Non-Responder	40 (47%)	15 (39%)	1,12 [0,723; 1,726] 0,6184	1,23 [0,548; 2,778] 0,6110	0,05 [-0,135; 0,231] 0,6095
LOCF	42 (49%)	16 (42%)	1,11 [0,733; 1,665] 0,6327	1,22 [0,545; 2,738] 0,6265	0,05 [-0,138; 0,230] 0,6259
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

**35.7.1.10.17.2. Keine Veränderung im SGI - Muskelkraft: Interaktionstest**

<b>Keine Veränderung im SGI - Muskelkraft: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	
Non-Responder	0,1008
LOCF	0,0952
02	
Non-Responder	0,5938
LOCF	0,5945
03	
Non-Responder	0,6381
LOCF	0,5859
04	
Non-Responder	0,0977
LOCF	0,1509
05	
Non-Responder	0,6611
LOCF	0,6826
06	
Non-Responder	0,9876
LOCF	0,9234
07	
Non-Responder	0,8616
LOCF	0,4802
08	
Non-Responder	0,0206
LOCF	0,0426
09	

<b>Keine Veränderung im SGI - Muskelkraft: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
Non-Responder	0,2378
LOCF	0,4123
10	
Non-Responder	0,1626
LOCF	0,6385
<i>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

**35.7.1.10.17.2. Keine Veränderung im SGI - Muskelkraft: Subgruppenanalyse**

<b>Keine Veränderung im SGI - Muskelkraft</b>			
		<b>Cipaglusidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>07_1</b>			
Non-Responder	N	42	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	15 (36)	6 (32)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,99 [0,478; 2,056] p = 0,9805	
LOCF	N	42	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	15 (36)	7 (37)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,85 [0,438; 1,647] p = 0,6296	
<b>07_2</b>			
Non-Responder	N	43	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	25 (58)	9 (47)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,22 [0,712; 2,081] p = 0,4727	
LOCF	N	43	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	27 (63)	9 (47)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,32 [0,783; 2,238] p = 0,2945	
<b>08_1</b>			
Non-Responder	N	42	17
	Patienten mit Ereignis, n (%)	18 (43)	10 (59)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,74 [0,444; 1,219] p = 0,2332	
LOCF	N	42	17
	Patienten mit Ereignis, n (%)	19 (45)	10 (59)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,75 [0,455; 1,236] p = 0,2587	
<b>08_2</b>			

<b>Keine Veränderung im SGI - Muskelkraft</b>			
		<b>Cipaglucosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
Non-Responder	N	43	21
	Patienten mit Ereignis, n (%)	22 (51)	5 (24)
	RR [95 %-KI] p-Wert	2,27 [0,987; 5,221] p = 0,0536	
LOCF	N	43	21
	Patienten mit Ereignis, n (%)	23 (53)	6 (29)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,91 [0,945; 3,875] p = 0,0715	
<b>05_1</b>			
Non-Responder	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	30 (46)	11 (37)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,16 [0,694; 1,954] p = 0,5632	
LOCF	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	32 (49)	12 (40)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,14 [0,710; 1,845] p = 0,5787	
<b>05_2</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_1</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_2</b>			
Non-Responder	N	67	32
	Patienten mit Ereignis, n (%)	31 (46)	14 (44)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,06 [0,676; 1,671] p = 0,7920	

<b>Keine Veränderung im SGI - Muskelkraft</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
LOCF	N	67	32
	Patienten mit Ereignis, n (%)	33 (49)	14 (44)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,15 [0,740; 1,780] p = 0,5379	
<b>03_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>03_2</b>			
Non-Responder	N	43	12
	Patienten mit Ereignis, n (%)	21 (49)	4 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,33 [0,577; 3,044] p = 0,5060	
LOCF	N	43	12
	Patienten mit Ereignis, n (%)	22 (51)	4 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,38 [0,602; 3,139] p = 0,4495	
<b>03_3</b>			
Non-Responder	N	26	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	13 (50)	6 (40)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,19 [0,628; 2,265] p = 0,5895	
LOCF	N	26	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	14 (54)	7 (47)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,13 [0,654; 1,941] p = 0,6669	
<b>01_1</b>			
Non-Responder	N	36	20



<b>Keine Veränderung im SGI - Muskelkraft</b>			
		<b>Cipaglicosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
	Patienten mit Ereignis, n (%)	18 (50)	11 (55)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,85 [0,523; 1,395] p = 0,5298	
LOCF	N	36	20
	Patienten mit Ereignis, n (%)	20 (56)	12 (60)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,85 [0,550; 1,322] p = 0,4761	
<b>01_2</b>			
Non-Responder	N	49	18
	Patienten mit Ereignis, n (%)	22 (45)	4 (22)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,89 [0,783; 4,561] p = 0,1567	
LOCF	N	49	18
	Patienten mit Ereignis, n (%)	22 (45)	4 (22)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,89 [0,783; 4,561] p = 0,1567	
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

**35.7.1.10.18.2. Verbesserung im SGI - Muskelfunktion****35.7.1.10.18.2. Verbesserung im SGI - Muskelfunktion: Analyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Cipaglucosidase alfa/Miglustat vs. Alglucosidase alfa/Placebo Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
	Cipaglucosida se alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	RR	OR	ARR
N	85	38			
<b>Verbesserung im SGI - Muskelfunktion</b>					
Non-Responder	26 (31%)	10 (26%)	1,16 [0,653; 2,068] 0,6100	1,28 [0,499; 3,302] 0,6038	0,04 [-0,115; 0,200] 0,5958
LOCF	27 (32%)	10 (26%)	1,20 [0,677; 2,141] 0,5283	1,36 [0,533; 3,483] 0,5192	0,05 [-0,105; 0,212] 0,5078
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

**35.7.1.10.18.2. Verbesserung im SGI - Muskelfunktion: Interaktionstest**

<b>Verbesserung im SGI - Muskelfunktion: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	
Non-Responder	0,5902
LOCF	0,6535
02	
Non-Responder	0,3782
LOCF	0,3757
03	
Non-Responder	0,7074
LOCF	0,6402
04	
Non-Responder	0,6441
LOCF	0,6678
05	
Non-Responder	0,5706
LOCF	0,5100
06	
Non-Responder	0,9482
LOCF	0,9611
07	
Non-Responder	0,9117
LOCF	0,9910
08	
Non-Responder	0,0871
LOCF	0,0685
09	

<b>Verbesserung im SGI - Muskelfunktion: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
Non-Responder	0,7888
LOCF	0,7256
10	
Non-Responder	0,4971
LOCF	0,5296
<i>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

**35.7.1.10.18.2. Verbesserung im SGI - Muskelfunktion: Subgruppenanalyse**

<b>Verbesserung im SGI - Muskelfunktion</b>			
		<b>Cipaglusosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>07_1</b>			
Non-Responder	N	42	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	15 (36)	6 (32)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,07 [0,564; 2,041] p = 0,8308	
LOCF	N	42	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	16 (38)	6 (32)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,14 [0,597; 2,183] p = 0,6876	
<b>07_2</b>			
Non-Responder	N	43	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	11 (26)	4 (21)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,24 [0,453; 3,410] p = 0,6726	
LOCF	N	43	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	11 (26)	4 (21)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,24 [0,453; 3,410] p = 0,6726	
<b>08_1</b>			
Non-Responder	N	42	17
	Patienten mit Ereignis, n (%)	16 (38)	3 (18)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,62 [0,592; 4,423] p = 0,3480	
LOCF	N	42	17
	Patienten mit Ereignis, n (%)	17 (40)	3 (18)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,78 [0,654; 4,824] p = 0,2597	
<b>08_2</b>			

<b>Verbesserung im SGI - Muskelfunktion</b>			
		<b>Cipaglicosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
Non-Responder	N	43	21
	Patienten mit Ereignis, n (%)	10 (23)	7 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,84 [0,388; 1,826] p = 0,6623	
LOCF	N	43	21
	Patienten mit Ereignis, n (%)	10 (23)	7 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,84 [0,388; 1,826] p = 0,6623	
<b>05_1</b>			
Non-Responder	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	17 (26)	6 (20)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,33 [0,573; 3,068] p = 0,5092	
LOCF	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	18 (28)	6 (20)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,40 [0,608; 3,215] p = 0,4311	
<b>05_2</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_1</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_2</b>			
Non-Responder	N	67	32
	Patienten mit Ereignis, n (%)	20 (30)	9 (28)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,03 [0,561; 1,877] p = 0,9339	

<b>Verbesserung im SGI - Muskelfunktion</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
LOCF	N	67	32
	Patienten mit Ereignis, n (%)	21 (31)	9 (28)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,08 [0,590; 1,965] p = 0,8090	
<b>03_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>03_2</b>			
Non-Responder	N	43	12
	Patienten mit Ereignis, n (%)	13 (30)	2 (17)
	RR [95 %-KI] p-Wert	2,18 [0,587; 8,115] p = 0,2440	
LOCF	N	43	12
	Patienten mit Ereignis, n (%)	14 (33)	2 (17)
	RR [95 %-KI] p-Wert	2,33 [0,617; 8,774] p = 0,2124	
<b>03_3</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>01_1</b>			
Non-Responder	N	36	20
	Patienten mit Ereignis, n (%)	10 (28)	4 (20)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,86 [0,620; 5,559] p = 0,2688	
LOCF	N	36	20
	Patienten mit Ereignis, n (%)	10 (28)	4 (20)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,86 [0,620; 5,559] p = 0,2688	

<b>Verbesserung im SGI - Muskelfunktion</b>			
		<b>Cipaglicosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>01_2</b>			
Non-Responder	N	49	18
	Patienten mit Ereignis, n (%)	16 (33)	6 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,81 [0,370; 1,793] p = 0,6096	
LOCF	N	49	18
	Patienten mit Ereignis, n (%)	17 (35)	6 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,87 [0,397; 1,905] p = 0,7270	
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			



**35.7.1.10.19.2. Verschlechterung im SGI - Muskelfunktion****35.7.1.10.19.2. Verschlechterung im SGI - Muskelfunktion: Analyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Cipaglucosidase alfa/Miglustat vs. Alglucosidase alfa/Placebo Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
	Cipaglucosida se alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	RR	OR	ARR
N	85	38			
<b>Verschlechterung im SGI - Muskelfunktion</b>					
Non-Responder	16 (19%)	11 (29%)	0,67 [0,343; 1,294] 0,2309	0,58 [0,236; 1,433] 0,2383	-0,10 [-0,261; 0,070] 0,2590
LOCF	12 (14%)	11 (29%)	0,50 [0,245; 1,022] 0,0574	0,40 [0,156; 1,044] 0,0612	-0,14 [-0,303; 0,017] 0,0805
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

**35.7.1.10.19.2. Verschlechterung im SGI - Muskelfunktion: Interaktionstest**

<b>Verschlechterung im SGI - Muskelfunktion: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	
Non-Responder	0,4961
LOCF	0,4623
02	
Non-Responder	0,8745
LOCF	0,7863
03	
Non-Responder	0,2973
LOCF	0,2320
04	
Non-Responder	0,2056
LOCF	0,1693
05	
Non-Responder	0,5137
LOCF	0,3258
06	
Non-Responder	0,4788
LOCF	0,6635
07	
Non-Responder	0,1439
LOCF	0,2610
08	
Non-Responder	0,5759
LOCF	0,3835
09	

<b>Verschlechterung im SGI - Muskelfunktion: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
Non-Responder	0,9403
LOCF	0,8159
10	
Non-Responder	0,2415
LOCF	0,2811
<i>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

**35.7.1.10.19.2. Verschlechterung im SGI - Muskelfunktion: Subgruppenanalyse**

<b>Verschlechterung im SGI - Muskelfunktion</b>			
		<b>Cipaglusidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>07_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>07_2</b>			
Non-Responder	N	43	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	10 (23)	4 (21)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,07 [0,393; 2,928] p = 0,8907	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>08_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>08_2</b>			
Non-Responder	N	43	21
	Patienten mit Ereignis, n (%)	11 (26)	7 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,67 [0,322; 1,403] p = 0,2906	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>05_1</b>			
Non-Responder	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	13 (20)	10 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,61 [0,302; 1,245] p = 0,1762	
LOCF	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	9 (14)	10 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,43 [0,197; 0,935] p = 0,0334	

<b>Verschlechterung im SGI - Muskelfunktion</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidade alfa/Placebo</b>
<b>05_2</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_1</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_2</b>			
	N	67	32
Non-Responder	Patienten mit Ereignis, n (%)	12 (18)	7 (22)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,81 [0,363; 1,816] p = 0,6120	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>03_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>03_2</b>			
	N	43	12
Non-Responder	Patienten mit Ereignis, n (%)	11 (26)	4 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,78 [0,301; 1,998] p = 0,5991	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>03_3</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>01_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		

<b>Verschlechterung im SGI - Muskelfunktion</b>		
	<b>Cipaglucosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>01_2</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>		

**35.7.1.10.20.2. Keine Veränderung im SGI - Muskelfunktion****35.7.1.10.20.2. Keine Veränderung im SGI - Muskelfunktion: Analyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Cipaglucosidase alfa/Miglustat vs. Alglucosidase alfa/Placebo Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	RR	OR	ARR
N	85	38			
<b>Keine Veränderung im SGI - Muskelfunktion</b>					
Non-Responder	43 (51%)	17 (45%)	1,12 [0,746; 1,673] 0,5904	1,25 [0,567; 2,743] 0,5831	0,05 [-0,135; 0,241] 0,5819
LOCF	46 (54%)	17 (45%)	1,20 [0,810; 1,774] 0,3655	1,47 [0,660; 3,255] 0,3477	0,09 [-0,096; 0,276] 0,3453
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

**35.7.1.10.20.2. Keine Veränderung im SGI - Muskelfunktion: Interaktionstest**

<b>Keine Veränderung im SGI - Muskelfunktion: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	
Non-Responder	0,3833
LOCF	0,4701
02	
Non-Responder	0,7218
LOCF	0,6485
03	
Non-Responder	0,3917
LOCF	0,3673
04	
Non-Responder	0,6247
LOCF	0,5024
05	
Non-Responder	0,8855
LOCF	0,7633
06	
Non-Responder	0,4008
LOCF	0,5102
07	
Non-Responder	0,1706
LOCF	0,2702
08	
Non-Responder	0,1584
LOCF	0,1190
09	



<b>Keine Veränderung im SGI - Muskelfunktion: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
Non-Responder	0,7040
LOCF	0,7595
10	
Non-Responder	0,1975
LOCF	0,1523
<i>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

**35.7.1.10.20.2. Keine Veränderung im SGI - Muskelfunktion: Subgruppenanalyse**

<b>Keine Veränderung im SGI - Muskelfunktion</b>			
		<b>Cipaglucosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>07_1</b>			
Non-Responder	N	42	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	21 (50)	6 (32)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,58 [0,789; 3,146] p = 0,1973	
LOCF	N	42	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	21 (50)	6 (32)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,58 [0,789; 3,146] p = 0,1973	
<b>07_2</b>			
Non-Responder	N	43	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	22 (51)	11 (58)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,89 [0,546; 1,436] p = 0,6211	
LOCF	N	43	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	25 (58)	11 (58)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,01 [0,638; 1,599] p = 0,9661	
<b>08_1</b>			
Non-Responder	N	42	17
	Patienten mit Ereignis, n (%)	21 (50)	10 (59)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,95 [0,596; 1,528] p = 0,8464	
LOCF	N	42	17
	Patienten mit Ereignis, n (%)	22 (52)	10 (59)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,97 [0,608; 1,545] p = 0,8970	
<b>08_2</b>			

<b>Keine Veränderung im SGI - Muskelfunktion</b>			
		<b>Cipaglicosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
Non-Responder	N	43	21
	Patienten mit Ereignis, n (%)	22 (51)	7 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,55 [0,729; 3,297] p = 0,2542	
LOCF	N	43	21
	Patienten mit Ereignis, n (%)	24 (56)	7 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,72 [0,830; 3,556] p = 0,1452	
<b>05_1</b>			
Non-Responder	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	35 (54)	14 (47)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,13 [0,726; 1,773] p = 0,5785	
LOCF	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	38 (58)	14 (47)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,23 [0,802; 1,900] p = 0,3381	
<b>05_2</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_1</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_2</b>			
Non-Responder	N	67	32
	Patienten mit Ereignis, n (%)	35 (52)	16 (50)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,07 [0,711; 1,614] p = 0,7423	

<b>Keine Veränderung im SGI - Muskelfunktion</b>			
		<b>Cipaglicosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
LOCF	N	67	32
	Patienten mit Ereignis, n (%)	37 (55)	16 (50)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,15 [0,775; 1,697] p = 0,4926	
<b>03_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	N	16	11
	Patienten mit Ereignis, n (%)	10 (62)	6 (55)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,01 [0,496; 2,063] p = 0,9740	
<b>03_2</b>			
Non-Responder	N	43	12
	Patienten mit Ereignis, n (%)	19 (44)	6 (50)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,81 [0,417; 1,583] p = 0,5421	
LOCF	N	43	12
	Patienten mit Ereignis, n (%)	20 (47)	6 (50)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,85 [0,441; 1,619] p = 0,6123	
<b>03_3</b>			
Non-Responder	N	26	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	15 (58)	5 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	2,00 [0,896; 4,464] p = 0,0906	
LOCF	N	26	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	16 (62)	5 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	2,18 [1,008; 4,699] p = 0,0477	

<b>Keine Veränderung im SGI - Muskelfunktion</b>			
		<b>Cipaglicosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>01_1</b>			
Non-Responder	N	36	20
	Patienten mit Ereignis, n (%)	17 (47)	10 (50)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,86 [0,501; 1,491] p = 0,6010	
LOCF	N	36	20
	Patienten mit Ereignis, n (%)	19 (53)	10 (50)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,95 [0,568; 1,572] p = 0,8275	
<b>01_2</b>			
Non-Responder	N	49	18
	Patienten mit Ereignis, n (%)	26 (53)	7 (39)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,44 [0,774; 2,694] p = 0,2476	
LOCF	N	49	18
	Patienten mit Ereignis, n (%)	27 (55)	7 (39)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,49 [0,802; 2,779] p = 0,2065	
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

**35.7.1.10.21.2. Verbesserung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen****35.7.1.10.21.2. Verbesserung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen: Analyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Cipaglucosidase alfa/Miglustat vs. Alglucosidase alfa/Placebo		
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
N	85	38	RR	OR	ARR
<b>Verbesserung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen</b>					
Non-Responder	25 (29%)	11 (29%)	0,98 [0,553; 1,729]	0,97 [0,388; 2,399]	-0,01 [-0,169; 0,157]
LOCF	25 (29%)	11 (29%)	0,9395	0,9389	0,9391
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

**35.7.1.10.21.2. Verbesserung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen: Interaktionstest**

<b>Verbesserung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	
Non-Responder	0,5877
LOCF	0,5877
02	
Non-Responder	0,4051
LOCF	0,4051
03	
Non-Responder	0,2876
LOCF	0,2876
04	
Non-Responder	0,5168
LOCF	0,5168
05	
Non-Responder	0,2619
LOCF	0,2619
06	
Non-Responder	0,2537
LOCF	0,2537
07	
Non-Responder	0,8947
LOCF	0,8947
08	
Non-Responder	0,2172
LOCF	0,2172
09	

<b>Verbesserung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
Non-Responder	0,5202
LOCF	0,5202
10	
Non-Responder	0,5575
LOCF	0,5575
<i>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	



**35.7.1.10.2.1.2. Verbesserung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen: Subgruppenanalyse**

<b>Verbesserung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen</b>			
		<b>Cipaglusosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>07_1</b>			
Non-Responder	N	42	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	14 (33)	6 (32)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,96 [0,458; 2,001] p = 0,9078	
LOCF	N	42	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	14 (33)	6 (32)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,96 [0,458; 2,001] p = 0,9078	
<b>07_2</b>			
Non-Responder	N	43	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	11 (26)	5 (26)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,00 [0,413; 2,412] p = 0,9974	
LOCF	N	43	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	11 (26)	5 (26)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,00 [0,413; 2,412] p = 0,9974	
<b>08_1</b>			
Non-Responder	N	42	17
	Patienten mit Ereignis, n (%)	15 (36)	4 (24)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,26 [0,471; 3,382] p = 0,6436	
LOCF	N	42	17
	Patienten mit Ereignis, n (%)	15 (36)	4 (24)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,26 [0,471; 3,382] p = 0,6436	
<b>08_2</b>			

<b>Verbesserung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen</b>			
		<b>Cipaglicosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
Non-Responder	N	43	21
	Patienten mit Ereignis, n (%)	10 (23)	7 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,70 [0,301; 1,634] p = 0,4110	
LOCF	N	43	21
	Patienten mit Ereignis, n (%)	10 (23)	7 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,70 [0,301; 1,634] p = 0,4110	
<b>05_1</b>			
Non-Responder	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	17 (26)	6 (20)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,26 [0,531; 2,989] p = 0,6009	
LOCF	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	17 (26)	6 (20)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,26 [0,531; 2,989] p = 0,6009	
<b>05_2</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_1</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_2</b>			
Non-Responder	N	67	32
	Patienten mit Ereignis, n (%)	20 (30)	10 (31)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,92 [0,517; 1,634] p = 0,7732	

<b>Verbesserung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Algluco- sidade alfa/Placebo</b>
LOCF	N	67	32
	Patienten mit Ereignis, n (%)	20 (30)	10 (31)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,92 [0,517; 1,634] p = 0,7732	
<b>03_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>03_2</b>			
Non-Responder	N	43	12
	Patienten mit Ereignis, n (%)	14 (33)	2 (17)
	RR [95 %-KI] p-Wert	2,38 [0,632; 9,002] p = 0,1998	
LOCF	N	43	12
	Patienten mit Ereignis, n (%)	14 (33)	2 (17)
	RR [95 %-KI] p-Wert	2,38 [0,632; 9,002] p = 0,1998	
<b>03_3</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>01_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>01_2</b>			
Non-Responder	N	49	18
	Patienten mit Ereignis, n (%)	18 (37)	6 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,86 [0,380; 1,940] p = 0,7150	

<b>Verbesserung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen</b>			
		<b>Cipaglicosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
LOCF	N	49	18
	Patienten mit Ereignis, n (%)	18 (37)	6 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,86 [0,380; 1,940] p = 0,7150	
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

**35.7.1.10.22.2. Verschlechterung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen****35.7.1.10.22.2. Verschlechterung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen: Analyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Cipaglucosidase alfa/Miglustat vs. Alglucosidase alfa/Placebo Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	RR	OR	ARR
N	85	38			
<b>Verschlechterung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen</b>					
Non-Responder	11 (13%)	13 (34%)	0,39 [0,197; 0,781] 0,0078	0,28 [0,105; 0,721] 0,0087	-0,21 [-0,369; -0,041] 0,0141
LOCF	9 (11%)	13 (34%)	0,32 [0,150; 0,665] 0,0024	0,21 [0,075; 0,582] 0,0028	-0,23 [-0,392; -0,070] 0,0049
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

**35.7.1.10.22.2. Verschlechterung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen: Interaktionstest**

<b>Verschlechterung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	
Non-Responder	0,5559
LOCF	0,9639
02	
Non-Responder	0,3338
LOCF	0,4059
03	
Non-Responder	0,2166
LOCF	0,0105
04	
Non-Responder	0,3186
LOCF	0,3306
05	
Non-Responder	0,1668
LOCF	0,1411
06	
Non-Responder	0,9281
LOCF	0,7053
07	
Non-Responder	0,4044
LOCF	0,7831
08	
Non-Responder	0,4355
LOCF	0,3755
09	

<b>Verschlechterung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
Non-Responder	0,1717
LOCF	0,2400
10	
Non-Responder	0,5197
LOCF	0,7769
<i>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

### 35.7.1.10.22.2. Verschlechterung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen: Subgruppenanalyse

Verschlechterung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen			
		Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Algluco- sidade alfa/Placebo
<b>07_1</b>			
Non-Responder		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>07_2</b>			
Non-Responder		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>08_1</b>			
Non-Responder		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>08_2</b>			
Non-Responder		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>05_1</b>			
Non-Responder	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	10 (15)	13 (43)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,36 [0,179; 0,726] p = 0,0043	
LOCF	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	8 (12)	13 (43)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,28 [0,133; 0,609] p = 0,0012	
<b>05_2</b>			
Non-Responder		Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten	
LOCF		Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten	
<b>10_1</b>			



<b>Verschlechterung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen</b>		
	<b>Cipaglicosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten	
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten	
<b>10_2</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>03_1</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>03_2</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>03_3</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>01_1</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>01_2</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>		

**35.7.1.10.23.2. Keine Veränderung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen****35.7.1.10.23.2. Keine Veränderung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen: Analyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Cipaglucosidase alfa/Miglustat vs. Alglucosidase alfa/Placebo Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	RR	OR	ARR
N	85	38			
<b>Keine Veränderung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen</b>					
Non-Responder	49 (58%)	14 (37%)	1,57 [1,011; 2,434] 0,0446	2,49 [1,097; 5,668] 0,0292	0,21 [0,030; 0,393] 0,0227
LOCF	51 (60%)	14 (37%)	1,64 [1,061; 2,529] 0,0260	2,82 [1,229; 6,481] 0,0144	0,24 [0,057; 0,418] 0,0100
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

**35.7.1.10.23.2. Keine Veränderung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen: Interaktionstest**

<b>Keine Veränderung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	
Non-Responder	0,9938
LOCF	0,8384
02	
Non-Responder	0,4880
LOCF	0,4743
03	
Non-Responder	0,0370
LOCF	0,0287
04	
Non-Responder	0,2226
LOCF	0,1772
05	
Non-Responder	0,8736
LOCF	0,7943
06	
Non-Responder	0,6978
LOCF	0,7243
07	
Non-Responder	0,2666
LOCF	0,3368
08	
Non-Responder	0,4713
LOCF	0,4688
09	

<b>Keine Veränderung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
Non-Responder	0,7666
LOCF	0,8208
10	
Non-Responder	0,2344
LOCF	0,2573
<i>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

### 35.7.1.10.23.2. Keine Veränderung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen: Subgruppenanalyse

<b>Keine Veränderung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen</b>			
		<b>Cipaglusosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>07_1</b>			
Non-Responder	N	42	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	23 (55)	5 (26)
	RR [95 %-KI] p-Wert	2,14 [0,973; 4,697] p = 0,0586	
LOCF	N	42	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	23 (55)	5 (26)
	RR [95 %-KI] p-Wert	2,14 [0,973; 4,697] p = 0,0586	
<b>07_2</b>			
Non-Responder	N	43	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	26 (60)	9 (47)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,27 [0,752; 2,140] p = 0,3717	
LOCF	N	43	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	28 (65)	9 (47)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,38 [0,824; 2,297] p = 0,2222	
<b>08_1</b>			
Non-Responder	N	42	17
	Patienten mit Ereignis, n (%)	23 (55)	7 (41)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,49 [0,788; 2,831] p = 0,2187	
LOCF	N	42	17
	Patienten mit Ereignis, n (%)	24 (57)	7 (41)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,52 [0,797; 2,884] p = 0,2052	

<b>Keine Veränderung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen</b>			
		<b>Cipaglicosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>08_2</b>			
Non-Responder	N	43	21
	Patienten mit Ereignis, n (%)	26 (60)	7 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,96 [1,075; 3,563] p = 0,0280	
LOCF	N	43	21
	Patienten mit Ereignis, n (%)	27 (63)	7 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	2,07 [1,153; 3,708] p = 0,0148	
<b>05_1</b>			
Non-Responder	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	38 (58)	11 (37)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,61 [0,970; 2,671] p = 0,0656	
LOCF	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	40 (62)	11 (37)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,70 [1,031; 2,798] p = 0,0374	
<b>05_2</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_1</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_2</b>			
Non-Responder	N	67	32
	Patienten mit Ereignis, n (%)	39 (58)	13 (41)

<b>Keine Veränderung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidade alfa/Placebo</b>
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,45 [0,922; 2,280] p = 0,1074	
LOCF	N	67	32
	Patienten mit Ereignis, n (%)	41 (61)	13 (41)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,54 [0,992; 2,399] p = 0,0545	
<b>03_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>03_2</b>			
Non-Responder	N	43	12
	Patienten mit Ereignis, n (%)	21 (49)	6 (50)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,90 [0,508; 1,606] p = 0,7300	
LOCF	N	43	12
	Patienten mit Ereignis, n (%)	22 (51)	6 (50)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,94 [0,534; 1,641] p = 0,8180	
<b>03_3</b>			
Non-Responder	N	26	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	19 (73)	3 (20)
	RR [95 %-KI] p-Wert	4,12 [1,377; 12,324] p = 0,0113	
LOCF	N	26	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	20 (77)	3 (20)
	RR [95 %-KI] p-Wert	4,42 [1,507; 12,966] p = 0,0068	
<b>01_1</b>			
Non-Responder	N	36	20

<b>Keine Veränderung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
	Patienten mit Ereignis, n (%)	23 (64)	8 (40)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,50 [0,843; 2,683] p = 0,1671	
LOCF	N	36	20
	Patienten mit Ereignis, n (%)	25 (69)	8 (40)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,61 [0,909; 2,841] p = 0,1028	
<b>01_2</b>			
Non-Responder	N	49	18
	Patienten mit Ereignis, n (%)	26 (53)	6 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,84 [0,939; 3,614] p = 0,0757	
LOCF	N	49	18
	Patienten mit Ereignis, n (%)	26 (53)	6 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,84 [0,939; 3,614] p = 0,0757	
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			



**35.7.1.10.24.2. Verbesserung im SGI -Aktivitäten des täglichen Lebens****35.7.1.10.24.2. Verbesserung im SGI -Aktivitäten des täglichen Lebens: Analyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Cipaglucosidase alfa/Miglustat vs. Alglucosidase alfa/Placebo Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
	Cipaglucosida se alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	RR	OR	ARR
N	85	38			
<b>Verbesserung im SGI -Aktivitäten des täglichen Lebens</b>					
Non-Responder	24 (28%)	12 (32%)	0,93 [0,541; 1,608]	0,89 [0,364; 2,190]	-0,02 [-0,186; 0,145]
LOCF	24 (28%)	12 (32%)	0,8035	0,8046	0,8063
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

**35.7.1.10.24.2. Verbesserung im SGI -Aktivitäten des täglichen Lebens: Interaktionstest**

<b>Verbesserung im SGI -Aktivitäten des täglichen Lebens: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	
Non-Responder	0,2796
LOCF	0,2796
02	
Non-Responder	0,6557
LOCF	0,6557
03	
Non-Responder	0,7036
LOCF	0,7036
04	
Non-Responder	0,2993
LOCF	0,2993
05	
Non-Responder	0,0985
LOCF	0,0985
06	
Non-Responder	0,9472
LOCF	0,9472
07	
Non-Responder	0,8110
LOCF	0,8110
08	
Non-Responder	0,2784
LOCF	0,2784
09	

<b>Verbesserung im SGI -Aktivitäten des täglichen Lebens: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
Non-Responder	0,2866
LOCF	0,2866
10	
Non-Responder	0,1900
LOCF	0,1900
<i>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

### 35.7.1.10.24.2. Verbesserung im SGI -Aktivitäten des täglichen Lebens: Subgruppenanalyse

Verbesserung im SGI -Aktivitäten des täglichen Lebens			
		Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo
<b>07_1</b>			
Non-Responder	N	42	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	13 (31)	7 (37)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,89 [0,447; 1,759] p = 0,7322	
LOCF	N	42	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	13 (31)	7 (37)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,89 [0,447; 1,759] p = 0,7322	
<b>07_2</b>			
Non-Responder	N	43	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	11 (26)	5 (26)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,00 [0,409; 2,428] p = 0,9948	
LOCF	N	43	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	11 (26)	5 (26)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,00 [0,409; 2,428] p = 0,9948	
<b>08_1</b>			
Non-Responder	N	42	17
	Patienten mit Ereignis, n (%)	13 (31)	4 (24)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,13 [0,398; 3,180] p = 0,8232	
LOCF	N	42	17
	Patienten mit Ereignis, n (%)	13 (31)	4 (24)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,13 [0,398; 3,180] p = 0,8232	

<b>Verbesserung im SGI -Aktivitäten des täglichen Lebens</b>			
		<b>Cipaglicosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>08_2</b>			
Non-Responder	N	43	21
	Patienten mit Ereignis, n (%)	11 (26)	8 (38)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,72 [0,342; 1,498] p = 0,3754	
LOCF	N	43	21
	Patienten mit Ereignis, n (%)	11 (26)	8 (38)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,72 [0,342; 1,498] p = 0,3754	
<b>05_1</b>			
Non-Responder	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	17 (26)	6 (20)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,45 [0,622; 3,366] p = 0,3912	
LOCF	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	17 (26)	6 (20)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,45 [0,622; 3,366] p = 0,3912	
<b>05_2</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_1</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_2</b>			
Non-Responder	N	67	32
	Patienten mit Ereignis, n (%)	17 (25)	11 (34)

<b>Verbesserung im SGI -Aktivitäten des täglichen Lebens</b>			
		<b>Cipaglicosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
		RR [95 %-KI] p-Wert	0,70 [0,397; 1,250] p = 0,2309
LOCF	N	67	32
	Patienten mit Ereignis, n (%)	17 (25)	11 (34)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,70 [0,397; 1,250] p = 0,2309	
<b>03_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>03_2</b>			
Non-Responder	N	43	12
	Patienten mit Ereignis, n (%)	15 (35)	4 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,18 [0,464; 3,022] p = 0,7228	
LOCF	N	43	12
	Patienten mit Ereignis, n (%)	15 (35)	4 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,18 [0,464; 3,022] p = 0,7228	
<b>03_3</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>01_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>01_2</b>			
Non-Responder	N	49	18
	Patienten mit Ereignis, n (%)	18 (37)	6 (33)

<b>Verbesserung im SGI -Aktivitäten des täglichen Lebens</b>			
		<b>Cipaglucosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,04 [0,505; 2,157] p = 0,9079	
LOCF	N	49	18
	Patienten mit Ereignis, n (%)	18 (37)	6 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,04 [0,505; 2,157] p = 0,9079	
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

**35.7.1.10.25.2. Verschlechterung im SGI - Aktivitäten des täglichen Lebens****35.7.1.10.25.2. Verschlechterung im SGI - Aktivitäten des täglichen Lebens: Analyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Cipagluco­sidase alfa/Miglustat vs. Alglu­co­sidase alfa/Placebo		
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Alglu­co­sidase alfa/Placebo	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
N	85	38	RR	OR	ARR
<b>Verschlechterung im SGI - Aktivitäten des täglichen Lebens</b>					
Non-Responder	11 (13%)	6 (16%)	0,90 [0,349; 2,313] 0,8239	0,88 [0,295; 2,638] 0,8229	-0,02 [-0,151; 0,120] 0,8259
LOCF	8 (9%)	5 (13%)	0,82 [0,277; 2,407] 0,7136	0,79 [0,234; 2,693] 0,7111	-0,02 [-0,144; 0,100] 0,7201
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					



**35.7.1.10.25.2. Verschlechterung im SGI - Aktivitäten des täglichen Lebens: Interaktionstest**

<b>Verschlechterung im SGI - Aktivitäten des täglichen Lebens: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	
Non-Responder	0,1859
LOCF	0,1301
02	
Non-Responder	0,7940
LOCF	0,8570
03	
Non-Responder	0,6015
LOCF	0,7413
04	
Non-Responder	0,0359
LOCF	0,0126
05	
Non-Responder	0,0722
LOCF	0,0556
06	
Non-Responder	0,0412
LOCF	0,0682
07	
Non-Responder	0,1006
LOCF	0,2574
08	
Non-Responder	0,1415
LOCF	0,0779
09	

<b>Verschlechterung im SGI - Aktivitäten des täglichen Lebens: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
Non-Responder	0,1415
LOCF	0,0990
10	
Non-Responder	0,1783
LOCF	0,3721
<i>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

### 35.7.1.10.25.2. Verschlechterung im SGI - Aktivitäten des täglichen Lebens: Subgruppenanalyse

Verschlechterung im SGI - Aktivitäten des täglichen Lebens		
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo
<b>07_1</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>07_2</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>08_1</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>08_2</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>05_1</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>05_2</b>		
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten	
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten	
<b>10_1</b>		
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten	
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten	
<b>10_2</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	

<b>Verschlechterung im SGI - Aktivitäten des täglichen Lebens</b>		
	<b>Cipaglucosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>03_1</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>03_2</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>03_3</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>01_1</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>01_2</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	

**35.7.1.10.26.2. Keine Veränderung im SGI - Aktivitäten des täglichen Lebens****35.7.1.10.26.2. Keine Veränderung im SGI - Aktivitäten des täglichen Lebens: Analyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Cipaglusidase alfa/Miglustat vs. Alglucosidase alfa/Placebo Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	RR	OR	ARR
N	85	38			
<b>Keine Veränderung im SGI - Aktivitäten des täglichen Lebens</b>					
Non-Responder	50 (59%)	20 (53%)	1,07 [0,772; 1,474] 0,6971	1,18 [0,516; 2,709] 0,6929	0,04 [-0,143; 0,215] 0,6942
LOCF	53 (62%)	21 (55%)	1,08 [0,798; 1,450] 0,6323	1,24 [0,527; 2,904] 0,6256	0,04 [-0,131; 0,217] 0,6283
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

**35.7.1.10.26.2. Keine Veränderung im SGI - Aktivitäten des täglichen Lebens: Interaktionstest**

<b>Keine Veränderung im SGI - Aktivitäten des täglichen Lebens: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	
Non-Responder	0,8409
LOCF	0,7452
02	
Non-Responder	0,7927
LOCF	0,7991
03	
Non-Responder	0,4494
LOCF	0,6500
04	
Non-Responder	0,3607
LOCF	0,3988
05	
Non-Responder	0,2008
LOCF	0,1944
06	
Non-Responder	0,1131
LOCF	0,1204
07	
Non-Responder	0,1192
LOCF	0,2387
08	
Non-Responder	0,9710
LOCF	0,8520
09	

<b>Keine Veränderung im SGI - Aktivitäten des täglichen Lebens: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
Non-Responder	0,1860
LOCF	0,1596
10	
Non-Responder	0,7455
LOCF	0,7409
<i>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

**35.7.1.10.26.2. Keine Veränderung im SGI - Aktivitäten des täglichen Lebens: Subgruppenanalyse**

<b>Keine Veränderung im SGI - Aktivitäten des täglichen Lebens</b>			
		<b>Cipaglusidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>07_1</b>			
Non-Responder	N	42	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	24 (57)	7 (37)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,41 [0,792; 2,498] p = 0,2446	
LOCF	N	42	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	25 (60)	8 (42)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,28 [0,774; 2,120] p = 0,3359	
<b>07_2</b>			
Non-Responder	N	43	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	26 (60)	13 (68)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,88 [0,600; 1,287] p = 0,5072	
LOCF	N	43	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	28 (65)	13 (68)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,95 [0,658; 1,362] p = 0,7679	
<b>08_1</b>			
Non-Responder	N	42	17
	Patienten mit Ereignis, n (%)	25 (60)	9 (53)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,20 [0,759; 1,911] p = 0,4301	
LOCF	N	42	17
	Patienten mit Ereignis, n (%)	26 (62)	9 (53)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,22 [0,772; 1,929] p = 0,3936	



<b>Keine Veränderung im SGI - Aktivitäten des täglichen Lebens</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>08_2</b>			
Non-Responder	N	43	21
	Patienten mit Ereignis, n (%)	25 (58)	11 (52)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,06 [0,694; 1,628] p = 0,7779	
LOCF	N	43	21
	Patienten mit Ereignis, n (%)	27 (63)	12 (57)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,01 [0,694; 1,459] p = 0,9730	
<b>05_1</b>			
Non-Responder	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	40 (62)	18 (60)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,96 [0,696; 1,335] p = 0,8259	
LOCF	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	43 (66)	19 (63)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,98 [0,730; 1,315] p = 0,8924	
<b>05_2</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_1</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_2</b>			
Non-Responder	N	67	32
	Patienten mit Ereignis, n (%)	42 (63)	18 (56)

<b>Keine Veränderung im SGI - Aktivitäten des täglichen Lebens</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,14 [0,819; 1,585] p = 0,4374	
LOCF	N	67	32
	Patienten mit Ereignis, n (%)	44 (66)	18 (56)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,20 [0,871; 1,650] p = 0,2648	
<b>03_1</b>			
Non-Responder	N	16	11
	Patienten mit Ereignis, n (%)	10 (62)	7 (64)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,84 [0,468; 1,502] p = 0,5537	
LOCF	N	16	11
	Patienten mit Ereignis, n (%)	11 (69)	7 (64)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,93 [0,543; 1,589] p = 0,7889	
<b>03_2</b>			
Non-Responder	N	43	12
	Patienten mit Ereignis, n (%)	21 (49)	6 (50)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,86 [0,493; 1,512] p = 0,6071	
LOCF	N	43	12
	Patienten mit Ereignis, n (%)	22 (51)	6 (50)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,90 [0,522; 1,563] p = 0,7155	
<b>03_3</b>			
Non-Responder	N	26	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	19 (73)	7 (47)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,68 [0,893; 3,174] p = 0,1075	

<b>Keine Veränderung im SGI - Aktivitäten des täglichen Lebens</b>			
		<b>Cipaglicosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
LOCF	N	26	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	20 (77)	8 (53)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,55 [0,942; 2,551] p = 0,0847	
<b>01_1</b>			
Non-Responder	N	36	20
	Patienten mit Ereignis, n (%)	24 (67)	12 (60)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,03 [0,736; 1,444] p = 0,8594	
LOCF	N	36	20
	Patienten mit Ereignis, n (%)	26 (72)	13 (65)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,03 [0,781; 1,350] p = 0,8480	
<b>01_2</b>			
Non-Responder	N	49	18
	Patienten mit Ereignis, n (%)	26 (53)	8 (44)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,19 [0,692; 2,054] p = 0,5274	
LOCF	N	49	18
	Patienten mit Ereignis, n (%)	27 (55)	8 (44)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,23 [0,716; 2,126] p = 0,4482	
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

**35.7.1.10.27.2. Verbesserung im SGI - Energielevel****35.7.1.10.27.2. Verbesserung im SGI - Energielevel: Analyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Cipaglucosidase alfa/Miglustat vs. Alglucosidase alfa/Placebo		
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
N	85	38	RR	OR	ARR
<b>Verbesserung im SGI - Energielevel</b>					
Non-Responder	33 (39%)	11 (29%)	1,36 [0,766; 2,399]	1,61 [0,683; 3,813]	0,10 [-0,073; 0,274]
LOCF	33 (39%)	11 (29%)	0,2967	0,2752	0,2556
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

**35.7.1.10.27.2. Verbesserung im SGI - Energielevel: Interaktionstest**

<b>Verbesserung im SGI - Energielevel: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	
Non-Responder	0,3508
LOCF	0,3508
02	
Non-Responder	0,2843
LOCF	0,2843
03	
Non-Responder	0,1691
LOCF	0,1691
04	
Non-Responder	0,5686
LOCF	0,5686
05	
Non-Responder	0,4896
LOCF	0,4896
06	
Non-Responder	0,5257
LOCF	0,5257
07	
Non-Responder	0,7976
LOCF	0,7976
08	
Non-Responder	0,7559
LOCF	0,7559
09	

<b>Verbesserung im SGI - Energielevel: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
Non-Responder	0,8834
LOCF	0,8834
10	
Non-Responder	0,3435
LOCF	0,3435
<i>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

**35.7.1.10.27.2. Verbesserung im SGI - Energielevel: Subgruppenanalyse**

<b>Verbesserung im SGI - Energielevel</b>			
		<b>Cipaglusidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>07_1</b>			
Non-Responder	N	42	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	19 (45)	6 (32)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,43 [0,677; 3,021] p = 0,3490	
LOCF	N	42	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	19 (45)	6 (32)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,43 [0,677; 3,021] p = 0,3490	
<b>07_2</b>			
Non-Responder	N	43	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	14 (33)	5 (26)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,24 [0,514; 2,975] p = 0,6345	
LOCF	N	43	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	14 (33)	5 (26)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,24 [0,514; 2,975] p = 0,6345	
<b>08_1</b>			
Non-Responder	N	42	17
	Patienten mit Ereignis, n (%)	18 (43)	5 (29)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,29 [0,531; 3,124] p = 0,5753	
LOCF	N	42	17
	Patienten mit Ereignis, n (%)	18 (43)	5 (29)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,29 [0,531; 3,124] p = 0,5753	
<b>08_2</b>			

<b>Verbesserung im SGI - Energielevel</b>			
		<b>Cipaglucosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
Non-Responder	N	43	21
	Patienten mit Ereignis, n (%)	15 (35)	6 (29)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,21 [0,492; 2,990] p = 0,6747	
LOCF	N	43	21
	Patienten mit Ereignis, n (%)	15 (35)	6 (29)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,21 [0,492; 2,990] p = 0,6747	
<b>05_1</b>			
Non-Responder	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	23 (35)	7 (23)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,57 [0,725; 3,395] p = 0,2529	
LOCF	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	23 (35)	7 (23)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,57 [0,725; 3,395] p = 0,2529	
<b>05_2</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_1</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_2</b>			
Non-Responder	N	67	32
	Patienten mit Ereignis, n (%)	25 (37)	10 (31)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,16 [0,646; 2,078] p = 0,6212	



<b>Verbesserung im SGI - Energielevel</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
LOCF	N	67	32
	Patienten mit Ereignis, n (%)	25 (37)	10 (31)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,16 [0,646; 2,078] p = 0,6212	
<b>03_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>03_2</b>			
Non-Responder	N	43	12
	Patienten mit Ereignis, n (%)	17 (40)	3 (25)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,77 [0,628; 4,994] p = 0,2802	
LOCF	N	43	12
	Patienten mit Ereignis, n (%)	17 (40)	3 (25)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,77 [0,628; 4,994] p = 0,2802	
<b>03_3</b>			
Non-Responder	N	26	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	10 (38)	7 (47)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,69 [0,337; 1,431] p = 0,3225	
LOCF	N	26	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	10 (38)	7 (47)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,69 [0,337; 1,431] p = 0,3225	
<b>01_1</b>			
Non-Responder	N	36	20

<b>Verbesserung im SGI - Energielevel</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
	Patienten mit Ereignis, n (%)	13 (36)	4 (20)
	RR [95 %-KI] p-Wert	2,03 [0,729; 5,645] p = 0,1752	
LOCF	N	36	20
	Patienten mit Ereignis, n (%)	13 (36)	4 (20)
	RR [95 %-KI] p-Wert	2,03 [0,729; 5,645] p = 0,1752	
<b>01_2</b>			
Non-Responder	N	49	18
	Patienten mit Ereignis, n (%)	20 (41)	7 (39)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,92 [0,441; 1,935] p = 0,8341	
LOCF	N	49	18
	Patienten mit Ereignis, n (%)	20 (41)	7 (39)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,92 [0,441; 1,935] p = 0,8341	
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

**35.7.1.10.28.2. Verschlechterung im SGI - Energielevel****35.7.1.10.28.2. Verschlechterung im SGI - Energielevel: Analyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Cipagluco­sidase alfa/Miglustat vs. Alglucosidase alfa/Placebo		
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
N	85	38	RR	OR	ARR
<b>Verschlechterung im SGI - Energielevel</b>					
Non-Responder	12 (14%)	9 (24%)	0,54 [0,260; 1,140] 0,1069	0,45 [0,168; 1,227] 0,1194	-0,11 [-0,266; 0,039] 0,1442
LOCF	9 (11%)	9 (24%)	0,40 [0,180; 0,878] 0,0226	0,30 [0,099; 0,876] 0,0279	-0,15 [-0,296; -0,004] 0,0436
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

**35.7.1.10.28.2. Verschlechterung im SGI - Energielevel: Interaktionstest**

<b>Verschlechterung im SGI - Energielevel: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	
Non-Responder	0,5235
LOCF	0,9708
02	
Non-Responder	0,7089
LOCF	0,5812
03	
Non-Responder	0,8893
LOCF	0,7782
04	
Non-Responder	0,4319
LOCF	0,4395
05	
Non-Responder	0,4510
LOCF	0,2724
06	
Non-Responder	0,0641
LOCF	0,1566
07	
Non-Responder	0,1051
LOCF	0,1352
08	
Non-Responder	0,7151
LOCF	0,8331
09	

<b>Verschlechterung im SGI - Energielevel: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
Non-Responder	0,7990
LOCF	0,2659
10	
Non-Responder	0,8321
LOCF	0,8416
<i>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

**35.7.1.10.28.2. Verschlechterung im SGI - Energielevel: Subgruppenanalyse**

<b>Verschlechterung im SGI - Energielevel</b>		
	<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Algluco- sidade alfa/Placebo</b>
<b>07_1</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>07_2</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>08_1</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>08_2</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>05_1</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>05_2</b>		
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten	
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten	
<b>10_1</b>		
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten	
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten	
<b>10_2</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>03_1</b>		

<b>Verschlechterung im SGI - Energielevel</b>		
	<b>Cipagluco­sidase alfa/Miglustat</b>	<b>Algluco­sidase alfa/Placebo</b>
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>03_2</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>03_3</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>01_1</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>01_2</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	

**35.7.1.10.29.2. Keine Veränderung im SGI - Energielevel****35.7.1.10.29.2. Keine Veränderung im SGI - Energielevel: Analyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Cipagluco­sidase alfa/Miglustat vs. Alglucosidase alfa/Placebo		
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
N	85	38	RR	OR	ARR
<b>Keine Veränderung im SGI - Energielevel</b>					
Non-Responder	40 (47%)	18 (47%)	1,03 [0,686; 1,540] 0,8934	1,05 [0,484; 2,297] 0,8930	0,01 [-0,177; 0,204] 0,8929
LOCF	43 (51%)	18 (47%)	1,11 [0,749; 1,635] 0,6114	1,23 [0,559; 2,714] 0,6050	0,05 [-0,138; 0,238] 0,6035
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					



**35.7.1.10.29.2. Keine Veränderung im SGI - Energielevel: Interaktionstest**

<b>Keine Veränderung im SGI - Energielevel: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	
Non-Responder	0,2978
LOCF	0,5086
02	
Non-Responder	0,6173
LOCF	0,5373
03	
Non-Responder	0,1714
LOCF	0,1243
04	
Non-Responder	0,9441
LOCF	0,9722
05	
Non-Responder	0,8807
LOCF	0,7553
06	
Non-Responder	0,3585
LOCF	0,4865
07	
Non-Responder	0,3768
LOCF	0,4138
08	
Non-Responder	0,8780
LOCF	0,7979
09	

<b>Keine Veränderung im SGI - Energielevel: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
Non-Responder	0,9845
LOCF	0,9507
10	
Non-Responder	0,5961
LOCF	0,4852
<i>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

**35.7.1.10.29.2. Keine Veränderung im SGI - Energielevel: Subgruppenanalyse**

<b>Keine Veränderung im SGI - Energielevel</b>			
		<b>Cipaglusidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>07_1</b>			
Non-Responder	N	42	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	19 (45)	7 (37)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,32 [0,676; 2,585] p = 0,4154	
LOCF	N	42	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	20 (48)	7 (37)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,38 [0,711; 2,695] p = 0,3394	
<b>07_2</b>			
Non-Responder	N	43	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	21 (49)	11 (58)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,86 [0,528; 1,414] p = 0,5607	
LOCF	N	43	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	23 (53)	11 (58)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,95 [0,600; 1,514] p = 0,8382	
<b>08_1</b>			
Non-Responder	N	42	17
	Patienten mit Ereignis, n (%)	19 (45)	8 (47)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,01 [0,566; 1,805] p = 0,9719	
LOCF	N	42	17
	Patienten mit Ereignis, n (%)	20 (48)	8 (47)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,03 [0,580; 1,826] p = 0,9226	
<b>08_2</b>			

<b>Keine Veränderung im SGI - Energielevel</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
Non-Responder	N	43	21
	Patienten mit Ereignis, n (%)	21 (49)	10 (48)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,23 [0,684; 2,218] p = 0,4882	
LOCF	N	43	21
	Patienten mit Ereignis, n (%)	23 (53)	10 (48)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,35 [0,769; 2,383] p = 0,2944	
<b>05_1</b>			
Non-Responder	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	33 (51)	15 (50)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,05 [0,679; 1,618] p = 0,8306	
LOCF	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	36 (55)	15 (50)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,14 [0,754; 1,735] p = 0,5273	
<b>05_2</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_1</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_2</b>			
Non-Responder	N	67	32
	Patienten mit Ereignis, n (%)	33 (49)	15 (47)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,08 [0,690; 1,704] p = 0,7246	

<b>Keine Veränderung im SGI - Energielevel</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
LOCF	N	67	32
	Patienten mit Ereignis, n (%)	36 (54)	15 (47)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,20 [0,779; 1,839] p = 0,4108	
<b>03_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>03_2</b>			
Non-Responder	N	43	12
	Patienten mit Ereignis, n (%)	19 (44)	6 (50)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,85 [0,416; 1,720] p = 0,6445	
LOCF	N	43	12
	Patienten mit Ereignis, n (%)	21 (49)	6 (50)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,92 [0,459; 1,855] p = 0,8207	
<b>03_3</b>			
Non-Responder	N	26	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	13 (50)	4 (27)
	RR [95 %-KI] p-Wert	2,43 [0,869; 6,816] p = 0,0906	
LOCF	N	26	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	14 (54)	4 (27)
	RR [95 %-KI] p-Wert	2,68 [1,030; 6,992] p = 0,0434	
<b>01_1</b>			
Non-Responder	N	36	20

<b>Keine Veränderung im SGI - Energielevel</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidade alfa/Placebo</b>
	Patienten mit Ereignis, n (%)	16 (44)	11 (55)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,84 [0,496; 1,423] p = 0,5176	
LOCF	N	36	20
	Patienten mit Ereignis, n (%)	19 (53)	11 (55)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,97 [0,598; 1,575] p = 0,9045	
<b>01_2</b>			
Non-Responder	N	49	18
	Patienten mit Ereignis, n (%)	24 (49)	7 (39)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,50 [0,807; 2,789] p = 0,2001	
LOCF	N	49	18
	Patienten mit Ereignis, n (%)	24 (49)	7 (39)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,50 [0,807; 2,789] p = 0,2001	
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

**35.7.1.10.30.2. Verbesserung im SGI -Muskelschmerzen****35.7.1.10.30.2. Verbesserung im SGI -Muskelschmerzen: Analyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Cipaglucosidase alfa/Miglustat vs. Alglucosidase alfa/Placebo Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
	Cipaglucosida se alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	RR	OR	ARR
N	85	38			
<b>Verbesserung im SGI -Muskelschmerzen</b>					
Non-Responder	13 (15%)	10 (26%)	0,55 [0,263; 1,140]	0,45 [0,170; 1,198]	-0,12 [-0,275; 0,036]
LOCF	13 (15%)	10 (26%)	0,1073	0,1101	0,1328
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

**35.7.1.10.30.2. Verbesserung im SGI -Muskelschmerzen: Interaktionstest**

<b>Verbesserung im SGI -Muskelschmerzen: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	
Non-Responder	0,2093
LOCF	0,2093
02	
Non-Responder	0,7107
LOCF	0,7107
03	
Non-Responder	0,6772
LOCF	0,6772
04	
Non-Responder	0,4542
LOCF	0,4542
05	
Non-Responder	0,4309
LOCF	0,4309
06	
Non-Responder	0,3484
LOCF	0,3484
07	
Non-Responder	0,4527
LOCF	0,4527
08	
Non-Responder	0,3081
LOCF	0,3081
09	



<b>Verbesserung im SGI -Muskelschmerzen: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
Non-Responder	0,8352
LOCF	0,8352
10	
Non-Responder	0,5647
LOCF	0,5647
<i>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

**35.7.1.10.30.2. Verbesserung im SGI -Muskelschmerzen: Subgruppenanalyse**

<b>Verbesserung im SGI -Muskelschmerzen</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Algluco- sidade alfa/Placebo</b>
<b>07_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>07_2</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>08_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>08_2</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>05_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>05_2</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_1</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_2</b>			
Non-Responder	N	67	32
	Patienten mit Ereignis, n (%)	10 (15)	9 (28)

<b>Verbesserung im SGI -Muskelschmerzen</b>			
		<b>Cipagluco­sidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,49 [0,222; 1,058] p = 0,0690	
LOCF	N	67	32
	Patienten mit Ereignis, n (%)	10 (15)	9 (28)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,49 [0,222; 1,058] p = 0,0690	
<b>03_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>03_2</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>03_3</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>01_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>01_2</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

**35.7.1.10.31.2. Verschlechterung im SGI - Muskelschmerzen****35.7.1.10.31.2. Verschlechterung im SGI - Muskelschmerzen: Analyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Cipaglucosidase alfa/Miglustat vs. Alglucosidase alfa/Placebo Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
	Cipaglucosida se alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	RR	OR	ARR
N	85	38			
<b>Verschlechterung im SGI - Muskelschmerzen</b>					
Non-Responder	18 (21%)	10 (26%)	0,79 [0,392; 1,582] 0,5014	0,73 [0,300; 1,799] 0,4999	-0,06 [-0,221; 0,110] 0,5124
LOCF	16 (19%)	9 (24%)	0,78 [0,366; 1,656] 0,5154	0,73 [0,288; 1,861] 0,5118	-0,05 [-0,210; 0,107] 0,5256
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

**35.7.1.10.31.2. Verschlechterung im SGI - Muskelschmerzen: Interaktionstest**

<b>Verschlechterung im SGI - Muskelschmerzen: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	
Non-Responder	0,6096
LOCF	0,4494
02	
Non-Responder	0,5783
LOCF	0,5802
03	
Non-Responder	0,2368
LOCF	0,3150
04	
Non-Responder	0,1897
LOCF	0,1289
05	
Non-Responder	0,0286
LOCF	0,0293
06	
Non-Responder	0,0023
LOCF	0,0061
07	
Non-Responder	0,0786
LOCF	0,2376
08	
Non-Responder	0,2497
LOCF	0,1419
09	

<b>Verschlechterung im SGI - Muskelschmerzen: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
Non-Responder	0,0998
LOCF	0,1071
10	
Non-Responder	0,7882
LOCF	0,9046
<i>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

**35.7.1.10.31.2. Verschlechterung im SGI - Muskelschmerzen: Subgruppenanalyse**

<b>Verschlechterung im SGI - Muskelschmerzen</b>			
		<b>Cipagluco- sidas- e alfa/ Miglustat</b>	<b>Algluco- sidas- e alfa/ Placebo</b>
<b>07_1</b>			
Non-Responder		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>07_2</b>			
Non-Responder		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>08_1</b>			
Non-Responder		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>08_2</b>			
	N	43	21
Non-Responder	Patienten mit Ereignis, n (%)	10 (23)	4 (19)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,86 [0,380; 1,962] p = 0,7262	
LOCF		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>05_1</b>			
	N	65	30
Non-Responder	Patienten mit Ereignis, n (%)	14 (22)	10 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,62 [0,303; 1,262] p = 0,1869	
	N	65	30
LOCF	Patienten mit Ereignis, n (%)	12 (18)	9 (30)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,59 [0,271; 1,285] p = 0,1838	
<b>05_2</b>			
Non-Responder		Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten	

<b>Verschlechterung im SGI - Muskelschmerzen</b>			
		<b>Cipaglicosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_1</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_2</b>			
Non-Responder	N	67	32
	Patienten mit Ereignis, n (%)	12 (18)	7 (22)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,79 [0,345; 1,819] p = 0,5822	
LOCF	N	67	32
	Patienten mit Ereignis, n (%)	11 (16)	7 (22)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,71 [0,304; 1,652] p = 0,4249	
<b>03_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>03_2</b>			
Non-Responder	N	43	12
	Patienten mit Ereignis, n (%)	10 (23)	3 (25)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,87 [0,297; 2,534] p = 0,7953	
LOCF	N	43	12
	Patienten mit Ereignis, n (%)	10 (23)	3 (25)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,87 [0,297; 2,534] p = 0,7953	
<b>03_3</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		



<b>Verschlechterung im SGI - Muskelschmerzen</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidade alfa/Placebo</b>
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>01_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>01_2</b>			
Non-Responder	N	49	18
	Patienten mit Ereignis, n (%)	11 (22)	6 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,64 [0,259; 1,558] p = 0,3215	
LOCF	N	49	18
	Patienten mit Ereignis, n (%)	10 (20)	6 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,58 [0,229; 1,463] p = 0,2480	
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

**35.7.1.10.32.2. Keine Veränderung im SGI - Muskelschmerzen****35.7.1.10.32.2. Keine Veränderung im SGI - Muskelschmerzen: Analyse**

PROPEL ITT	Behandlungsarm		Cipaglucosidase alfa/Miglustat vs. Alglucosidase alfa/Placebo Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
	Cipaglucosida se alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	RR	OR	ARR
N	85	38			
<b>Keine Veränderung im SGI - Muskelschmerzen</b>					
Non-Responder	54 (64%)	18 (47%)	1,37 [0,950; 1,968] 0,0921	2,07 [0,940; 4,556] 0,0707	0,17 [-0,013; 0,363] 0,0685
LOCF	56 (66%)	19 (50%)	1,34 [0,951; 1,887] 0,0946	2,07 [0,935; 4,600] 0,0727	0,17 [-0,016; 0,358] 0,0726
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

**35.7.1.10.32.2. Keine Veränderung im SGI - Muskelschmerzen: Interaktionstest**

<b>Keine Veränderung im SGI - Muskelschmerzen: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	
Non-Responder	0,0749
LOCF	0,0394
02	
Non-Responder	0,4896
LOCF	0,4554
03	
Non-Responder	0,1819
LOCF	0,3413
04	
Non-Responder	0,5175
LOCF	0,4886
05	
Non-Responder	0,8252
LOCF	0,7860
06	
Non-Responder	0,1389
LOCF	0,1597
07	
Non-Responder	0,2659
LOCF	0,5584
08	
Non-Responder	0,9213
LOCF	0,7006
09	

<b>Keine Veränderung im SGI - Muskelschmerzen: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
Non-Responder	0,9967
LOCF	0,9943
10	
Non-Responder	0,8385
LOCF	0,6475
<i>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

**35.7.1.10.32.2. Keine Veränderung im SGI - Muskelschmerzen: Subgruppenanalyse**

<b>Keine Veränderung im SGI - Muskelschmerzen</b>			
		<b>Cipaglucosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>07_1</b>			
Non-Responder	N	42	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	26 (62)	7 (37)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,71 [0,921; 3,186] p = 0,0890	
LOCF	N	42	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	26 (62)	8 (42)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,49 [0,848; 2,621] p = 0,1649	
<b>07_2</b>			
Non-Responder	N	43	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	28 (65)	11 (58)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,14 [0,738; 1,777] p = 0,5468	
LOCF	N	43	19
	Patienten mit Ereignis, n (%)	30 (70)	11 (58)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,23 [0,799; 1,881] p = 0,3507	
<b>08_1</b>			
Non-Responder	N	42	17
	Patienten mit Ereignis, n (%)	27 (64)	8 (47)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,30 [0,748; 2,273] p = 0,3494	
LOCF	N	42	17
	Patienten mit Ereignis, n (%)	28 (67)	8 (47)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,32 [0,762; 2,294] p = 0,3207	
<b>08_2</b>			

<b>Keine Veränderung im SGI - Muskelschmerzen</b>			
		<b>Cipaglicosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
Non-Responder	N	43	21
	Patienten mit Ereignis, n (%)	27 (63)	10 (48)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,54 [0,877; 2,702] p = 0,1326	
LOCF	N	43	21
	Patienten mit Ereignis, n (%)	28 (65)	11 (52)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,38 [0,830; 2,281] p = 0,2163	
<b>05_1</b>			
Non-Responder	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	43 (66)	15 (50)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,35 [0,912; 1,985] p = 0,1349	
LOCF	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	45 (69)	16 (53)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,31 [0,915; 1,884] p = 0,1388	
<b>05_2</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_1</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_2</b>			
Non-Responder	N	67	32
	Patienten mit Ereignis, n (%)	45 (67)	16 (50)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,40 [0,953; 2,043] p = 0,0868	

<b>Keine Veränderung im SGI - Muskelschmerzen</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
LOCF	N	67	32
	Patienten mit Ereignis, n (%)	46 (69)	16 (50)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,43 [0,986; 2,084] p = 0,0594	
<b>03_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	N	16	11
	Patienten mit Ereignis, n (%)	10 (62)	7 (64)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,86 [0,484; 1,529] p = 0,6076	
<b>03_2</b>			
Non-Responder	N	43	12
	Patienten mit Ereignis, n (%)	24 (56)	5 (42)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,30 [0,647; 2,606] p = 0,4616	
LOCF	N	43	12
	Patienten mit Ereignis, n (%)	24 (56)	5 (42)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,30 [0,647; 2,606] p = 0,4616	
<b>03_3</b>			
Non-Responder	N	26	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	21 (81)	6 (40)
	RR [95 %-KI] p-Wert	2,19 [1,029; 4,660] p = 0,0419	
LOCF	N	26	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	22 (85)	7 (47)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,95 [1,059; 3,591] p = 0,0321	

<b>Keine Veränderung im SGI - Muskelschmerzen</b>			
		<b>Cipaglicosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>01_1</b>			
Non-Responder	N	36	20
	Patienten mit Ereignis, n (%)	22 (61)	12 (60)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,96 [0,613; 1,502] p = 0,8563	
LOCF	N	36	20
	Patienten mit Ereignis, n (%)	23 (64)	13 (65)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,92 [0,616; 1,366] p = 0,6701	
<b>01_2</b>			
Non-Responder	N	49	18
	Patienten mit Ereignis, n (%)	32 (65)	6 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	2,07 [1,036; 4,124] p = 0,0394	
LOCF	N	49	18
	Patienten mit Ereignis, n (%)	33 (67)	6 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	2,12 [1,066; 4,227] p = 0,0322	
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			



**Sicherheit****Unerwünschte Ereignisse (UE)****35.7.1.S.01****35.7.1.S.01.01.2. UE****35.7.1.S.01.01.2. UE: Interaktionstest**

<b>UE: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,9284
02	1,0000
03	0,9997
04	0,9845
05	0,9368
06	0,9723
07	0,7921
08	0,9001
09	0,9778
10	0,9542

*<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.*

**35.7.1.S.01.01.2. UE: Subgruppenanalyse**

<b>UE</b>			
		<b>ATB200/AT2221</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>01</b>			
1	N	36	20
	Ereignisse, n (%)	34 (94)	19 (95)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,99 [0,846; 1,161] p = 0,9105	
2	N	49	18
	Ereignisse, n (%)	47 (96)	18 (100)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,03 [0,864; 1,216] p = 0,7753	
<b>02</b>			
<b>03</b>			
1	N	16	11
	Ereignisse, n (%)	16 (100)	11 (100)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,00 [1,000; 1,000] p = NaN	
2	N	43	12
	Ereignisse, n (%)	39 (91)	11 (92)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,00 [0,802; 1,239] p = 0,9778	
3	N	26	15
	Ereignisse, n (%)	26 (100)	15 (100)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,00 [1,000; 1,000] p = 1,0000	
<b>04</b>			
<b>05</b>			
<b>06</b>			
<b>07</b>			

<b>UE</b>			
		<b>ATB200/AT2221</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
1	N	42	19
	Ereignisse, n (%)	39 (93)	19 (100)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,96 [0,831; 1,115] p = 0,6135	
2	N	43	19
	Ereignisse, n (%)	42 (98)	18 (95)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,03 [0,918; 1,148] p = 0,6434	
<b>08</b>			
1	N	42	17
	Ereignisse, n (%)	40 (95)	17 (100)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,02 [0,855; 1,228] p = 0,7918	
2	N	43	21
	Ereignisse, n (%)	41 (95)	20 (95)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,99 [0,890; 1,110] p = 0,9189	
<b>09</b>			
<b>10</b>			
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach den zwei Faktoren „Baseline 6MWD“ und „ERT Status“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>			

**35.7.1.S.01.02.2. Bei mindestens 10% der Patienten aufgetretene SOC und PT in UE nach SOC und PT****35.7.1.S.01.02.2. Bei mindestens 10% der Patienten aufgetretene SOC und PT in UE nach SOC und PT: Interaktionstest**

<b>Bei mindestens 10% der Patienten aufgetretene SOC und PT in UE nach SOC und PT mit PT Nasopharyngitis: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,6411
02	0,9864
03	0,3601
04	0,7299
05	0,7242
06	0,2466
07	0,7859
08	0,0199
09	0,4083
10	0,6124
<i><sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

<b>Bei mindestens 10% der Patienten aufgetretene SOC und PT in UE nach SOC und PT mit PT Infektion der oberen Atemwege: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,2141
02	0,9737
03	0,4663
04	0,9971
05	0,1316
06	0,9309
07	0,3324
08	0,1417
09	0,3788
10	0,1197
<i><sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

<b>Bei mindestens 10% der Patienten aufgetretene SOC und PT in UE nach SOC und PT mit SOC Erkrankungen der Haut und des Unterhautgewebes: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,9168
02	0,7492
03	0,3564
04	0,0249
05	0,6907
06	0,2999
07	0,3271
08	0,8093
09	0,1586
10	0,2950

*<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.*

<b>Bei mindestens 10% der Patienten aufgetretene SOC und PT in UE nach SOC und PT mit PT Muskulaere Schwache: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,0833
02	0,5096
03	0,2439
04	0,2255
05	0,9999
06	0,3571
07	0,4523
08	0,7539
09	0,6719
10	0,8406
<i><sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

<b>Bei mindestens 10% der Patienten aufgetretene SOC und PT in UE nach SOC und PT mit PT Asthenie: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,1836
02	0,2678
03	0,0433
04	0,2066
05	0,4522
06	0,3994
07	0,1328
08	0,0300
09	0,1841
10	0,0350
<i><sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	



<b>Bei mindestens 10% der Patienten aufgetretene SOC und PT in UE nach SOC und PT mit SOC Untersuchungen: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,3719
02	0,9816
03	0,0666
04	0,0701
05	0,6505
06	0,9481
07	0,7823
08	0,0416
09	0,6163
10	0,4795
<i><sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

**35.7.1.S.01.02.2. Bei mindestens 10% der Patienten aufgetretene SOC und PT in UE nach SOC und PT: Subgruppenanalyse**

<b>Bei mindestens 10% der Patienten aufgetretene SOC und PT in UE nach SOC und PT</b>			
		<b>ATB200/AT2221</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>Infektionen und parasitäre Erkrankungen (SOC)</b>			
Nasopharyngitis (PT)			
<b>01</b>			
1	N	36	20
	Ereignisse, n (%)	8 (22)	2 (10)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	2,97 [0,506; 17,427] p = 0,2283	
2	N	49	18
	Ereignisse, n (%)	11 (22)	1 (6)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	5,98 [0,656; 54,418] p = 0,1127	
<b>03</b>			
1	N	16	11
	Ereignisse, n (%)	2 (12)	1 (9)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	Inf [ NaN; Inf] p = NaN	
2	N	43	12
	Ereignisse, n (%)	13 (30)	2 (17)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	2,15 [0,551; 8,385] p = 0,2707	
3	N	26	15
	Ereignisse, n (%)	4 (15)	0 (0)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,54 [0,395; 6,008] p = 0,5341	
<b>07</b>			
1	N	42	19

<b>Bei mindestens 10% der Patienten aufgetretene SOC und PT in UE nach SOC und PT</b>			
		<b>ATB200/AT2221</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
	Ereignisse, n (%)	11 (26)	2 (11)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	3,53 [0,722; 17,291] p = 0,1194	
2	N	43	19
	Ereignisse, n (%)	8 (19)	1 (5)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	3,57 [0,421; 30,274] p = 0,2436	
<b>08</b>			
1	N	42	17
	Ereignisse, n (%)	13 (31)	0 (0)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	2,88 [0,857; 9,690] p = 0,0872	
2	N	43	21
	Ereignisse, n (%)	6 (14)	3 (14)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,20 [0,183; 7,812] p = 0,8517	
Untersuchungen (SOC)			
SOC Gesamt			
<b>01</b>			
1	N	36	20
	Ereignisse, n (%)	5 (14)	2 (10)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,48 [0,177; 12,303] p = 0,7184	
2	N	49	18
	Ereignisse, n (%)	12 (24)	1 (6)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	5,77 [0,657; 50,712] p = 0,1139	
<b>07</b>			

<b>Bei mindestens 10% der Patienten aufgetretene SOC und PT in UE nach SOC und PT</b>			
		<b>ATB200/AT2221</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
1	N	42	19
	Ereignisse, n (%)	7 (17)	1 (5)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	4,83 [0,538; 43,379] p = 0,1596	
2	N	43	19
	Ereignisse, n (%)	10 (23)	2 (11)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	2,24 [0,491; 10,198] p = 0,2976	
<b>08</b>			
1	N	42	17
	Ereignisse, n (%)	10 (24)	0 (0)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	2,40 [0,705; 8,196] p = 0,1610	
2	N	43	21
	Ereignisse, n (%)	7 (16)	3 (14)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,37 [0,280; 6,725] p = 0,6960	
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach den zwei Faktoren „Baseline 6MWD“ und „ERT Status“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>			

**Milde UE****35.7.1.S.02****35.7.1.S.02.02.2. Bei mindestens 10% der Patienten aufgetretene SOC und PT in Milde UE nach SOC und PT****35.7.1.S.02.02.2. Bei mindestens 10% der Patienten aufgetretene SOC und PT in Milde UE nach SOC und PT: Interaktionstest**

<b>Bei mindestens 10% der Patienten aufgetretene SOC und PT in Milde UE nach SOC und PT mit PT Nasopharyngitis: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,6411
02	0,9864
03	0,3601
04	0,7299
05	0,7242
06	0,2466
07	0,7859
08	0,0199
09	0,4083
10	0,6124

<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.

<b>Bei mindestens 10% der Patienten aufgetretene SOC und PT in Milde UE nach SOC und PT mit PT Harnwegsinfektion: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,9999
02	1,0000
03	1,0000
04	1,0000
05	0,9999
06	1,0000
07	0,9999
08	1,0000
09	1,0000
10	1,0000

<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.

<b>Bei mindestens 10% der Patienten aufgetretene SOC und PT in Milde UE nach SOC und PT mit SOC Erkrankungen der Haut und des Unterhautgewebes: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,9286
02	0,4490
03	0,5561
04	0,0390
05	0,8050
06	0,3658
07	0,4457
08	0,5916
09	0,2066
10	0,2328
<i><sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

<b>Bei mindestens 10% der Patienten aufgetretene SOC und PT in Milde UE nach SOC und PT mit PT Asthenie: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,1836
02	0,2678
03	0,0433
04	0,2066
05	0,4522
06	0,3994
07	0,1328
08	0,0300
09	0,1841
10	0,0350

<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.



**35.7.1.S.02.02.2. Bei mindestens 10% der Patienten aufgetretene SOC und PT in Milde UE nach SOC und PT: Subgruppenanalyse**

<b>Bei mindestens 10% der Patienten aufgetretene SOC und PT in Milde UE nach SOC und PT</b>			
		<b>ATB200/AT2221</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>Infektionen und parasitäre Erkrankungen (SOC)</b>			
Nasopharyngitis (PT)			
<b>01</b>			
1	N	36	20
	Ereignisse, n (%)	8 (22)	2 (10)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	2,97 [0,506; 17,427] p = 0,2283	
2	N	49	18
	Ereignisse, n (%)	11 (22)	1 (6)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	5,98 [0,656; 54,418] p = 0,1127	
<b>03</b>			
1	N	16	11
	Ereignisse, n (%)	2 (12)	1 (9)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	Inf [ NaN; Inf] p = NaN	
2	N	43	12
	Ereignisse, n (%)	13 (30)	2 (17)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	2,15 [0,551; 8,385] p = 0,2707	
3	N	26	15
	Ereignisse, n (%)	4 (15)	0 (0)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,54 [0,395; 6,008] p = 0,5341	
<b>07</b>			
1	N	42	19
	Ereignisse, n (%)	11 (26)	2 (11)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	3,53 [0,722; 17,291] p = 0,1194	
2	N	43	19

<b>Bei mindestens 10% der Patienten aufgetretene SOC und PT in Milde UE nach SOC und PT</b>			
		<b>ATB200/AT2221</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
	Ereignisse, n (%)	8 (19)	1 (5)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	3,57 [0,421; 30,274] p = 0,2436	
<b>08</b>			
1	N	42	17
	Ereignisse, n (%)	13 (31)	0 (0)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	2,88 [0,857; 9,690] p = 0,0872	
2	N	43	21
	Ereignisse, n (%)	6 (14)	3 (14)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,20 [0,183; 7,812] p = 0,8517	
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach den zwei Faktoren „Baseline 6MWD“ und „ERT Status“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>			

**UE mit infusionsbedingten Reaktionen (IAR)****35.7.1.S.06****35.7.1.S.06.01.2. UE mit IAR****35.7.1.S.06.01.2. UE mit IAR: Interaktionstest**

<b>UE mit IAR: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,5263
02	0,7295
03	0,5002
04	0,1111
05	0,9321
06	0,4358
07	0,7318
08	0,6949
09	0,9940
10	0,5409

<sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.

**35.7.1.S.06.01.2. UE mit IAR: Subgruppenanalyse**

<b>UE mit IAR</b>			
		<b>ATB200/AT2221</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>01</b>			
1	N	36	20
	Ereignisse, n (%)	6 (17)	5 (25)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,64 [0,225; 1,815] p = 0,4006	
2	N	49	18
	Ereignisse, n (%)	15 (31)	5 (28)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,05 [0,431; 2,552] p = 0,9156	
<b>02</b>			
<b>03</b>			
<b>04</b>			
<b>05</b>			
<b>06</b>			
<b>07</b>			
1	N	42	19
	Ereignisse, n (%)	9 (21)	5 (26)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,77 [0,308; 1,907] p = 0,5673	
2	N	43	19
	Ereignisse, n (%)	12 (28)	5 (26)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	1,03 [0,417; 2,535] p = 0,9525	
<b>08</b>			
1	N	42	17
	Ereignisse, n (%)	12 (29)	6 (35)
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,73 [0,323; 1,670] p = 0,4614	
2	N	43	21
	Ereignisse, n (%)	9 (21)	4 (19)

<b>UE mit IAR</b>		
	<b>ATB200/AT2221</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
	RR [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>	0,98 [0,286; 3,347] p = 0,9723
<b>09</b>		
<b>10</b>		
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach den zwei Faktoren „Baseline 6MWD“ und „ERT Status“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>		

**Therapieabbrüche aufgrund von UE****35.7.1.S.07****35.7.1.S.07.01.2. Therapieabbrüche aufgrund von UE****35.7.1.S.07.01.2. Therapieabbrüche aufgrund von UE: Interaktionstest**

<b>Therapieabbrüche aufgrund von UE: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest<sup>a</sup></b>
01	0,3724
02	1,0000
03	0,5577
04	1,0000
05	1,0000
06	0,5641
07	0,0516
08	0,3358
09	1,0000
10	0,2532
<i><sup>a</sup>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

**Subpopulation ERT vorbehandelt****6-Minute Walk Distance (6MWD)****35.7.1.01****35.7.1.01.01.1. Veränderung der 6MWD****35.7.1.01.01.1. Veränderung der 6MWD: Analyse**

PROPEL ERT experienced	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	65	30	-
<b>Veränderung der 6MWD</b>			
<b>Baseline</b>			
n/N (%)	65/65 (100)	30/30 (100)	-
MW (SD)	346,94 (110,213)	334,62 (114,023)	
<b>Änderung zu Woche 12</b>			
n/N (%)	64/65 (98)	30/30 (100)	Hedges` g 0,30 [-0,139; 0,733] 0,1814
MW (SD)	12,05 (26,027)	4,64 (21,641)	
LS MW (SE)	11,25 (3,208)	5,23 (4,768)	LS MD 6,02 [-5,578; 17,624] 0,3050
95 %-KI	4,875; 17,624	-4,250; 14,702	
<b>Änderung zu Woche 26</b>			
n/N (%)	56/65 (86)	28/30 (93)	Hedges` g 0,28 [-0,174; 0,737] 0,2264
MW (SD)	12,95 (30,368)	4,67 (26,577)	
LS MW (SE)	12,59 (3,874)	4,56 (5,652)	LS MD 8,03 [-5,740; 21,809] 0,2495
95 %-KI	4,895; 20,290	-6,673; 15,789	
<b>Änderung zu Woche 38</b>			
n/N (%)	58/65 (89)	28/30 (93)	

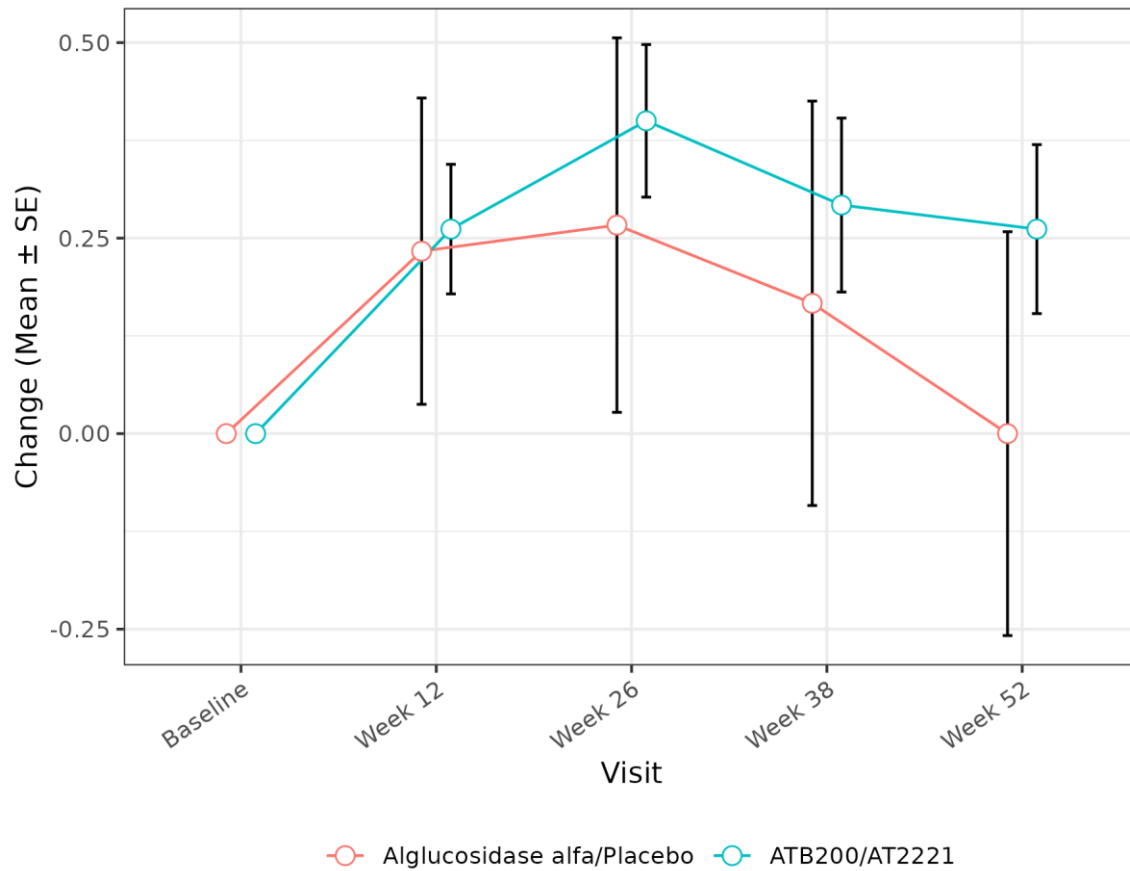
PROPEL ERT experienced	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidadase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	65	30	-
MW (SD)	13,34 (32,822)	3,95 (28,900)	Hedges` g 0,29 [-0,159; 0,747] 0,2034
LS MW (SE)	12,92 (4,229)	3,17 (6,200)	LS MD 9,75 [-5,309; 24,812] 0,2016
95 %-KI	4,519; 21,326	-9,149; 15,492	
<b>Änderung zu Woche 52</b>			
n/N (%)	61/65 (94)	29/30 (97)	Hedges` g 0,39 [-0,054; 0,838] 0,0850
MW (SD)	16,34 (39,462)	0,70 (39,841)	
LS MW (SE)	17,34 (4,946)	0,39 (7,264)	LS MD 16,95 [-0,635; 34,542] 0,0587
95 %-KI	7,514; 27,173	-14,045; 14,825	
<p><sup>a</sup>Die Veränderung der Punktwerte gegenüber Baseline plus 95 %-KI und p-Wert zu jedem spezifizierten Zeitpunkt wurden mit einem MMRM Model, stratifiziert nach Geschlecht, Alter, Gewicht und Größe zu Baseline, mit dem Baseline-Wert der jeweiligen Skala als Kovariate auf Basis der Mittelwerte der kleinsten Quadrate analysiert. Das Effektmaß Hedges` g ist die Differenz der Mittelwerte geteilt durch die gepoolte Standardabweichung.</p> <p>Hinweis: Alle Werte wurden mit dem Programm R als Näherung kalkuliert.</p> <p>ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; LS MD: Mittelwertdifferenz der kleinsten Quadrate; LS MW (SE): Mittelwert der kleinsten Quadrate (Standardfehler); MW (SD): Mittelwert (Standardabweichung); N: Patienten mit Baselinewert; n: Anzahl der Patienten mit Baselinewert in der Analyse</p>			



**Subject's Global Impression of Change (SGIC)****35.7.1.10****35.7.1.10.01.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Allgemeines körperliches Wohlbefinden****35.7.1.10.01.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Allgemeines körperliches Wohlbefinden: Analyse**

PROPEL ERT experienced	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipagluco- sidadase alfa/Miglustat	Algluco- sidadase alfa/Placebo	
N	65	30	-
<b>Veränderung des SGIC-Wertes - Allgemeines körperliches Wohlbefinden</b>			
<b>Änderung zu Woche 12</b>			
n/N (%)	65/65 (100)	30/30 (100)	Hedges' g 0,03 [-0,398; 0,467] 0,8766
MW (SD)	0,26 (0,668)	0,23 (1,073)	
LS MW (SE)	0,28 (0,101)	0,19 (0,151)	LS MD 0,09 [-0,277; 0,456] 0,6296
95 %-KI	0,080; 0,481	-0,108; 0,491	
<b>Änderung zu Woche 26</b>			
n/N (%)	65/65 (100)	30/30 (100)	Hedges' g 0,13 [-0,298; 0,568] 0,5417
MW (SD)	0,40 (0,787)	0,27 (1,311)	
LS MW (SE)	0,43 (0,123)	0,21 (0,183)	LS MD 0,22 [-0,225; 0,666] 0,3283
95 %-KI	0,184; 0,671	-0,157; 0,571	
<b>Änderung zu Woche 38</b>			
n/N (%)	65/65 (100)	30/30 (100)	Hedges' g 0,11 [-0,318; 0,548] 0,6033
MW (SD)	0,29 (0,897)	0,17 (1,416)	
LS MW (SE)	0,30 (0,134)	0,15 (0,200)	LS MD 0,14 [-0,343; 0,630] 0,5591
95 %-KI	0,032; 0,564	-0,243; 0,552	

<b>PROPEL ERT experienced</b>	<b>Behandlungsarm</b>		<b>Effektmaß [95 %-KI] p-Wert</b>
	<b>Cipaglucosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>	
<b>N</b>	<b>65</b>	<b>30</b>	<b>-</b>
<b>Änderung zu Woche 52</b>			
n/N (%)	65/65 (100)	30/30 (100)	Hedges' g 0,24
MW (SD)	0,26 (0,871)	0,00 (1,414)	[-0,192; 0,676] 0,2738
LS MW (SE)	0,28 (0,134)	-0,04 (0,200)	LS MD 0,32
95 %-KI	0,014; 0,547	-0,439; 0,356	[-0,165; 0,809] 0,1920
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

**35.7.1.10.01.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Allgemeines körperliches Wohlbefinden  
Mittelwertveränderungsplot****35.7.1.10.01**

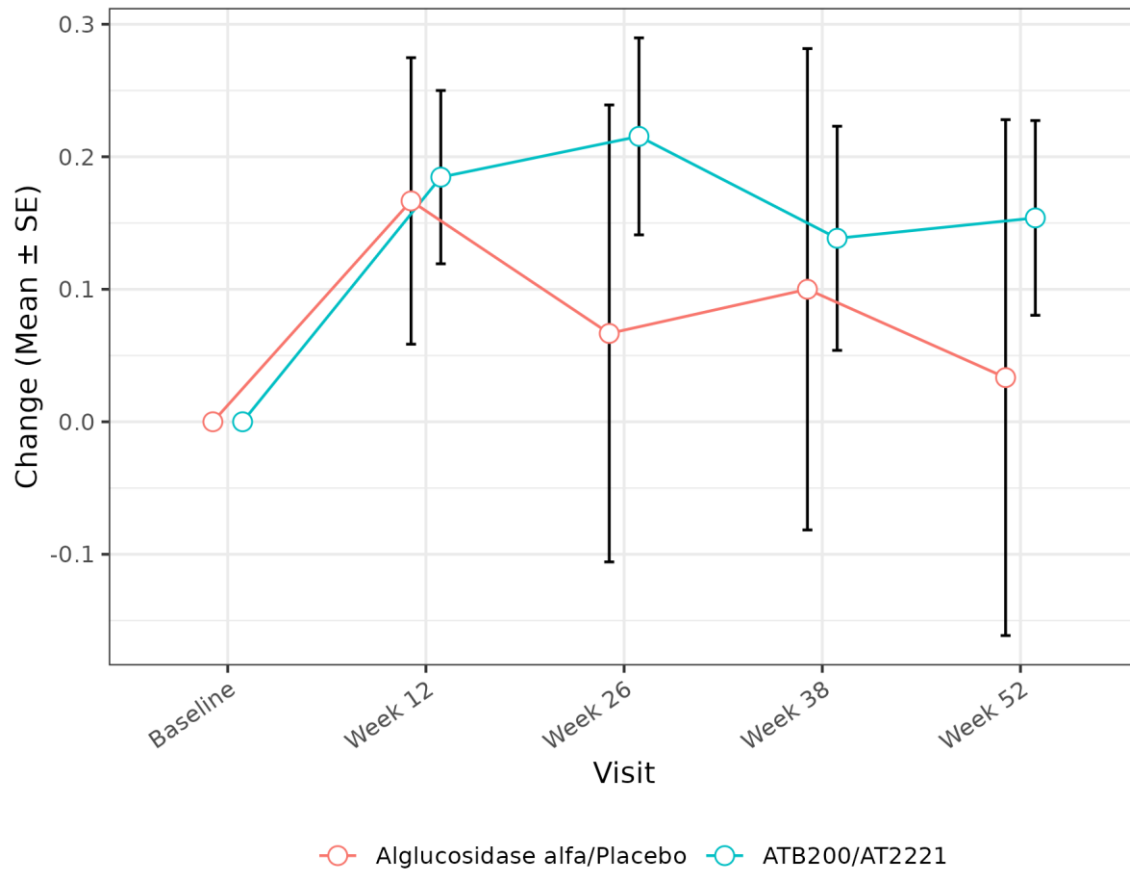
**35.7.1.10.02.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Atemanstrengung****35.7.1.10.02.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Atemanstrengung: Analyse**

PROPEL ERT experienced	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	65	30	-
<b>Veränderung des SGIC-Wertes - Atemanstrengung</b>			
<b>Änderung zu Woche 12</b>			
n/N (%)	65/65 (100)	30/30 (100)	Hedges' g 0,03 [-0,400; 0,465] 0,8830
MW (SD)	0,18 (0,527)	0,17 (0,592)	
LS MW (SE)	0,19 (0,070)	0,15 (0,104)	LS MD 0,05 [-0,206; 0,300] 0,7115
95 %-KI	0,055; 0,332	-0,060; 0,353	
<b>Änderung zu Woche 26</b>			
n/N (%)	65/65 (100)	30/30 (100)	Hedges' g 0,20 [-0,230; 0,637] 0,3576
MW (SD)	0,22 (0,599)	0,07 (0,944)	
LS MW (SE)	0,22 (0,093)	0,06 (0,138)	LS MD 0,16 [-0,178; 0,495] 0,3523
95 %-KI	0,034; 0,403	-0,215; 0,335	
<b>Änderung zu Woche 38</b>			
n/N (%)	65/65 (100)	30/30 (100)	Hedges' g 0,05 [-0,385; 0,481] 0,8274
MW (SD)	0,14 (0,682)	0,10 (0,995)	
LS MW (SE)	0,14 (0,100)	0,09 (0,150)	LS MD 0,05 [-0,314; 0,413] 0,7872
95 %-KI	-0,057; 0,341	-0,205; 0,390	
<b>Änderung zu Woche 52</b>			
n/N (%)	65/65 (100)	30/30 (100)	Hedges' g 0,15
MW (SD)	0,15 (0,592)	0,03 (1,066)	

<b>PROPEL ERT experienced</b>	<b>Behandlungsarm</b>		<b>Effektmaß [95 %-KI] p-Wert</b>
	<b>Cipaglucosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>	
<b>N</b>	<b>65</b>	<b>30</b>	-
			[-0,278; 0,588] 0,4836
<b>LS MW (SE)</b>	0,16 (0,097)	0,03 (0,145)	<b>LS MD</b> 0,13
<b>95 %-KI</b>	-0,036; 0,350	-0,262; 0,314	[-0,221; 0,484] 0,4609
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

**35.7.1.10.02.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Atemanstrengung  
Mittelwertveränderungsplot**

35.7.1.10.02



**35.7.1.10.03.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelkraft****35.7.1.10.03.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelkraft: Analyse**

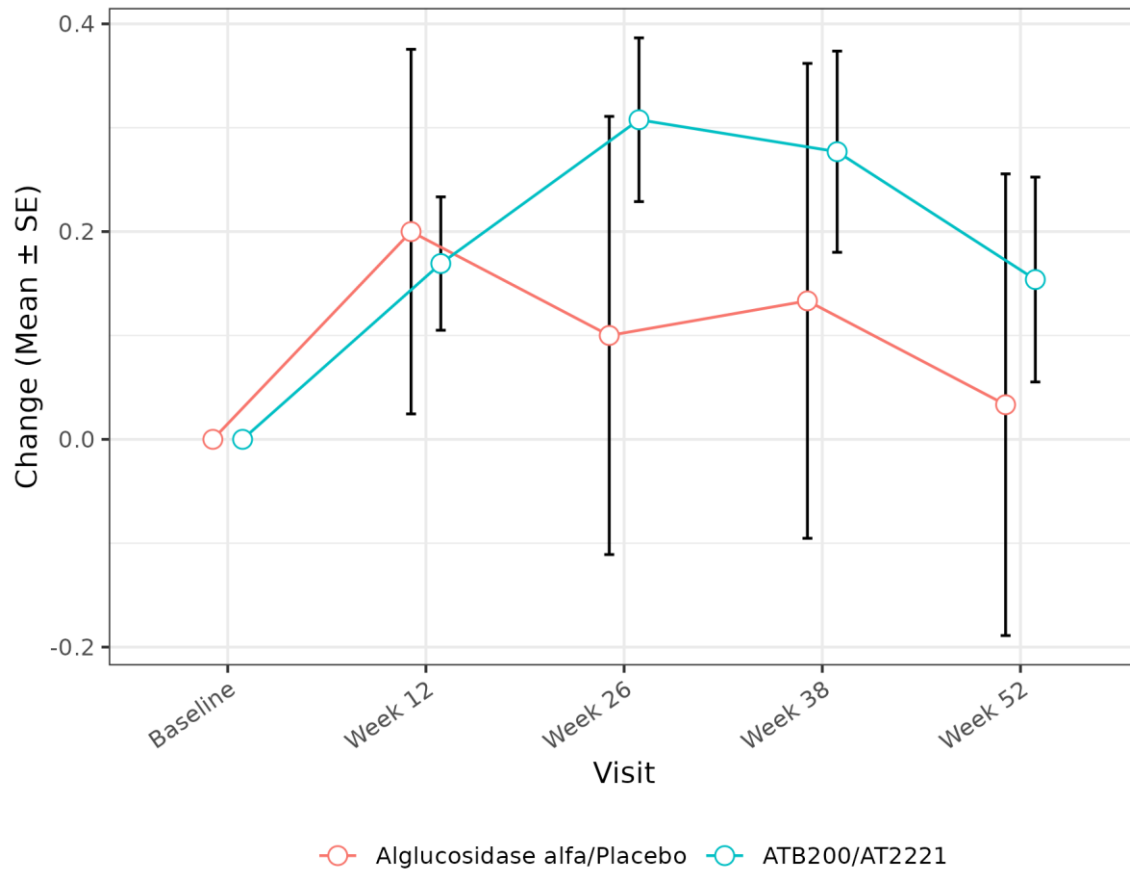
PROPEL ERT experienced	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	65	30	-
<b>Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelkraft</b>			
<b>Änderung zu Woche 12</b>			
n/N (%)	65/65 (100)	30/30 (100)	Hedges' g -0,04 [-0,477; 0,388] 0,8406
MW (SD)	0,17 (0,517)	0,20 (0,961)	
LS MW (SE)	0,18 (0,087)	0,17 (0,130)	LS MD 0,01 [-0,301; 0,329] 0,9280
95 %-KI	0,011; 0,356	-0,088; 0,427	
<b>Änderung zu Woche 26</b>			
n/N (%)	65/65 (100)	30/30 (100)	Hedges' g 0,25 [-0,187; 0,681] 0,2642
MW (SD)	0,31 (0,635)	0,10 (1,155)	
LS MW (SE)	0,33 (0,104)	0,06 (0,155)	LS MD 0,27 [-0,106; 0,645] 0,1575
95 %-KI	0,122; 0,533	-0,249; 0,365	
<b>Änderung zu Woche 38</b>			
n/N (%)	65/65 (100)	30/30 (100)	Hedges' g 0,15 [-0,284; 0,583] 0,4989
MW (SD)	0,28 (0,781)	0,13 (1,252)	
LS MW (SE)	0,30 (0,119)	0,08 (0,178)	LS MD 0,23 [-0,203; 0,660] 0,2963
95 %-KI	0,067; 0,540	-0,277; 0,428	
<b>Änderung zu Woche 52</b>			
n/N (%)	65/65 (100)	30/30 (100)	Hedges' g 0,13
MW (SD)	0,15 (0,795)	0,03 (1,217)	

<b>PROPEL ERT experienced</b>	<b>Behandlungsarm</b>		<b>Effektmaß [95 %-KI] p-Wert</b>
	<b>Cipagluco­sidase alfa/Miglustat</b>	<b>Algluco­sidase alfa/Placebo</b>	
<b>N</b>	<b>65</b>	<b>30</b>	-
			[-0,307; 0,559] 0,5678
<b>LS MW (SE)</b>	0,18 (0,119)	-0,02 (0,177)	<b>LS MD</b> 0,19
<b>95 %-KI</b>	-0,059; 0,413	-0,369; 0,336	[-0,238; 0,624] 0,3767
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			



**35.7.1.10.03.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelkraft  
Mittelwertveränderungsplot**

**35.7.1.10.03**



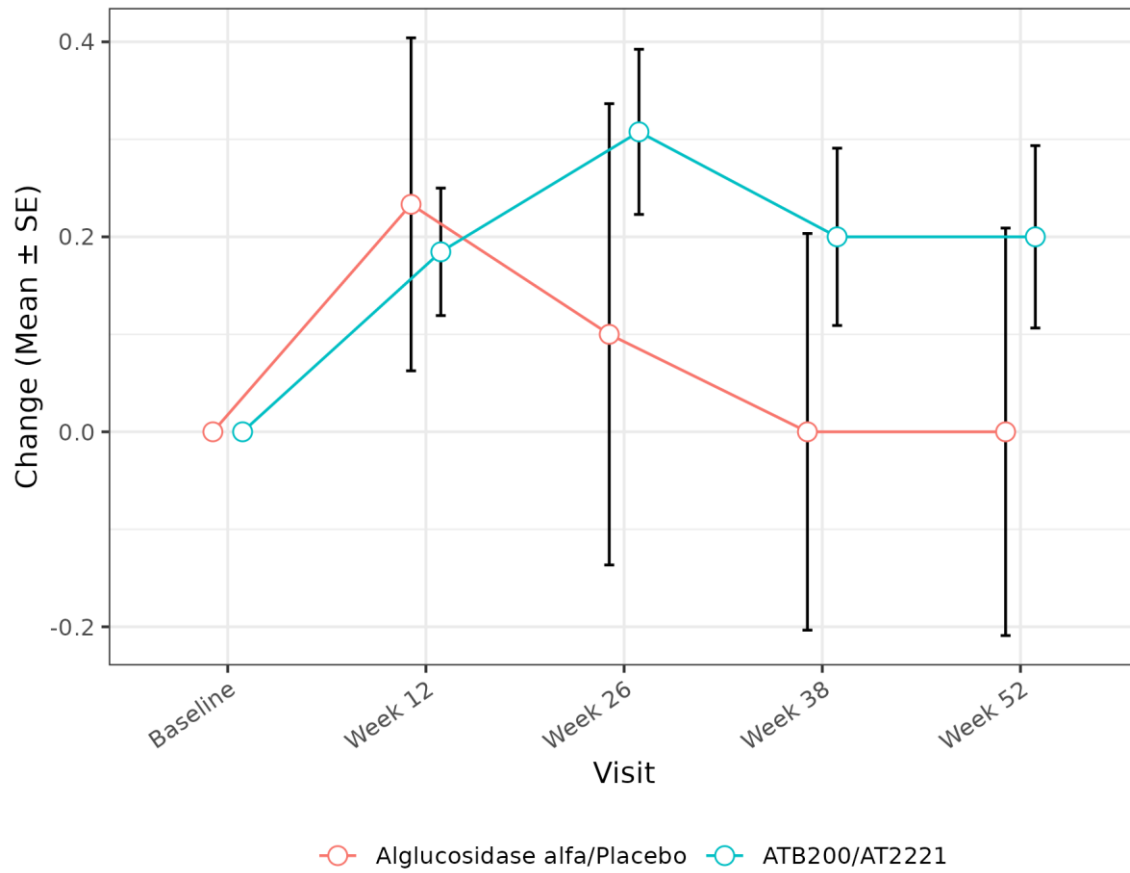
**35.7.1.10.04.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelfunktion****35.7.1.10.04.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelfunktion: Analyse**

PROPEL ERT experienced	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	65	30	-
<b>Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelfunktion</b>			
<b>Änderung zu Woche 12</b>			
n/N (%)	65/65 (100)	30/30 (100)	Hedges' g -0,07 [-0,504; 0,362] 0,7480
MW (SD)	0,18 (0,527)	0,23 (0,935)	
LS MW (SE)	0,20 (0,085)	0,21 (0,127)	LS MD -0,01 [-0,324; 0,295] 0,9251
95 %-KI	0,026; 0,365	-0,043; 0,463	
<b>Änderung zu Woche 26</b>			
n/N (%)	65/65 (100)	30/30 (100)	Hedges' g 0,22 [-0,210; 0,658] 0,3112
MW (SD)	0,31 (0,683)	0,10 (1,296)	
LS MW (SE)	0,33 (0,115)	0,06 (0,172)	LS MD 0,27 [-0,149; 0,687] 0,2038
95 %-KI	0,098; 0,556	-0,284; 0,399	
<b>Änderung zu Woche 38</b>			
n/N (%)	65/65 (100)	30/30 (100)	Hedges' g 0,23 [-0,206; 0,662] 0,3030
MW (SD)	0,20 (0,733)	0,00 (1,114)	
LS MW (SE)	0,21 (0,108)	-0,03 (0,162)	LS MD 0,24 [-0,151; 0,634] 0,2251
95 %-KI	-0,002; 0,428	-0,349; 0,293	
<b>Änderung zu Woche 52</b>			
n/N (%)	65/65 (100)	30/30 (100)	Hedges' g 0,22
MW (SD)	0,20 (0,754)	0,00 (1,145)	

<b>PROPEL ERT experienced</b>	<b>Behandlungsarm</b>		<b>Effektmaß [95 %-KI] p-Wert</b>
	<b>Cipagluco­sidase alfa/Miglustat</b>	<b>Algluco­sidase alfa/Placebo</b>	
<b>N</b>	<b>65</b>	<b>30</b>	-
			[-0,212; 0,656] 0,3163
<b>LS MW (SE)</b>	0,22 (0,112)	-0,05 (0,167)	<b>LS MD</b> 0,27
<b>95 %-KI</b>	-0,001; 0,444	-0,378; 0,286	[-0,139; 0,674] 0,1945
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

**35.7.1.10.04.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelfunktion  
Mittelwertveränderungsplot**

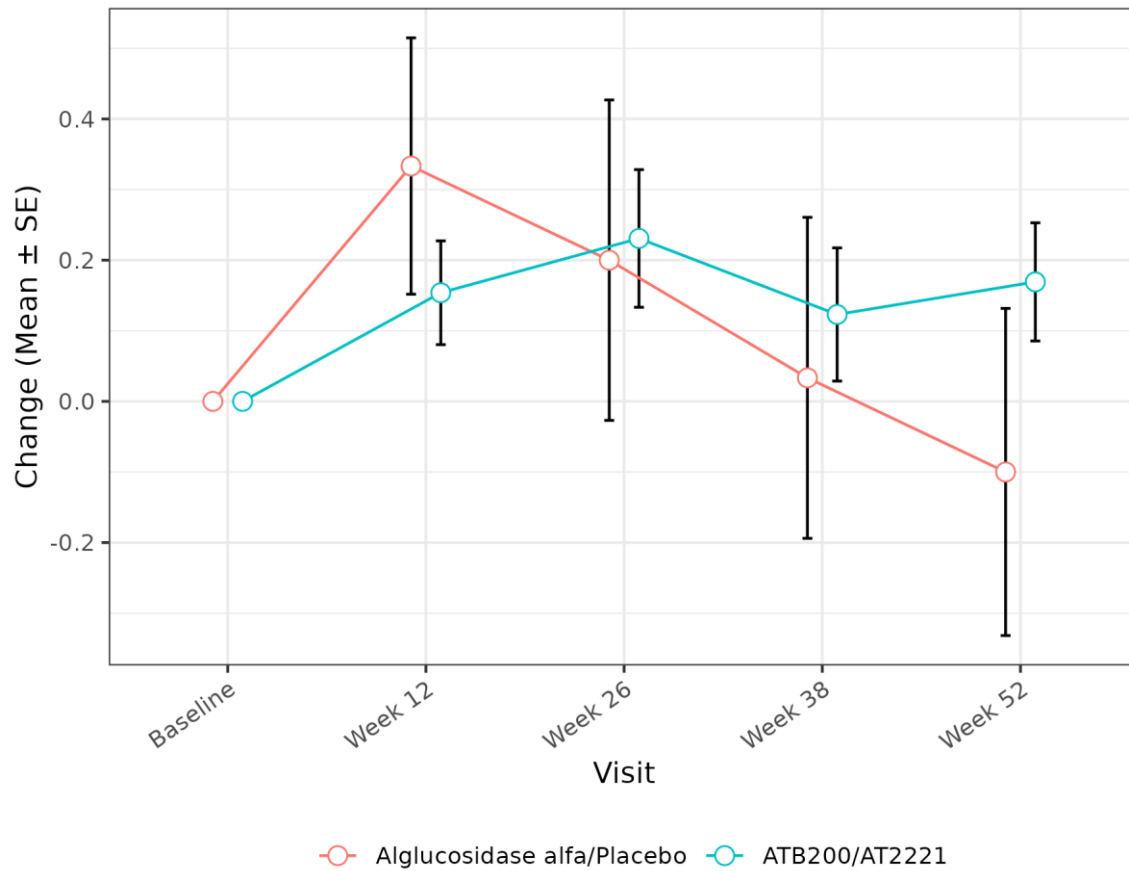
35.7.1.10.04



**35.7.1.10.05.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Fähigkeit, sich zu bewegen****35.7.1.10.05.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Fähigkeit, sich zu bewegen: Analyse**

PROPEL ERT experienced	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	65	30	-
<b>Veränderung des SGIC-Wertes - Fähigkeit, sich zu bewegen</b>			
<b>Änderung zu Woche 12</b>			
n/N (%)	65/65 (100)	30/30 (100)	Hedges' g -0,24 [-0,674; 0,194] 0,2782
MW (SD)	0,15 (0,592)	0,33 (0,994)	
LS MW (SE)	0,17 (0,092)	0,29 (0,138)	LS MD -0,11 [-0,450; 0,221] 0,4993
95 %-KI	-0,009; 0,358	0,015; 0,563	
<b>Änderung zu Woche 26</b>			
n/N (%)	65/65 (100)	30/30 (100)	Hedges' g 0,03 [-0,401; 0,465] 0,8846
MW (SD)	0,23 (0,786)	0,20 (1,243)	
LS MW (SE)	0,27 (0,119)	0,12 (0,177)	LS MD 0,14 [-0,286; 0,574] 0,5065
95 %-KI	0,031; 0,502	-0,229; 0,474	
<b>Änderung zu Woche 38</b>			
n/N (%)	65/65 (100)	30/30 (100)	Hedges' g 0,09 [-0,338; 0,528] 0,6677
MW (SD)	0,12 (0,761)	0,03 (1,245)	
LS MW (SE)	0,13 (0,116)	0,02 (0,173)	LS MD 0,11 [-0,306; 0,536] 0,5894
95 %-KI	-0,100; 0,362	-0,328; 0,361	
<b>Änderung zu Woche 52</b>			
n/N (%)	65/65 (100)	30/30 (100)	Hedges' g 0,30
MW (SD)	0,17 (0,675)	-0,10 (1,269)	

<b>PROPEL ERT experienced</b>	<b>Behandlungsarm</b>		<b>Effektmaß [95 %-KI] p-Wert</b>
	<b>Cipagluco­sidase alfa/Miglustat</b>	<b>Algluco­sidase alfa/Placebo</b>	
<b>N</b>	<b>65</b>	<b>30</b>	-
			[-0,139; 0,730] 0,1824
<b>LS MW (SE)</b>	0,18 (0,114)	-0,13 (0,170)	<b>LS MD</b> 0,31
<b>95 %-KI</b>	-0,045; 0,408	-0,466; 0,211	[-0,104; 0,723] 0,1410
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

**35.7.1.10.05.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Fähigkeit, sich zu bewegen  
Mittelwertveränderungsplot****35.7.1.10.05**

**35.7.1.10.06.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Aktivitäten des täglichen Lebens****35.7.1.10.06.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Aktivitäten des täglichen Lebens: Analyse**

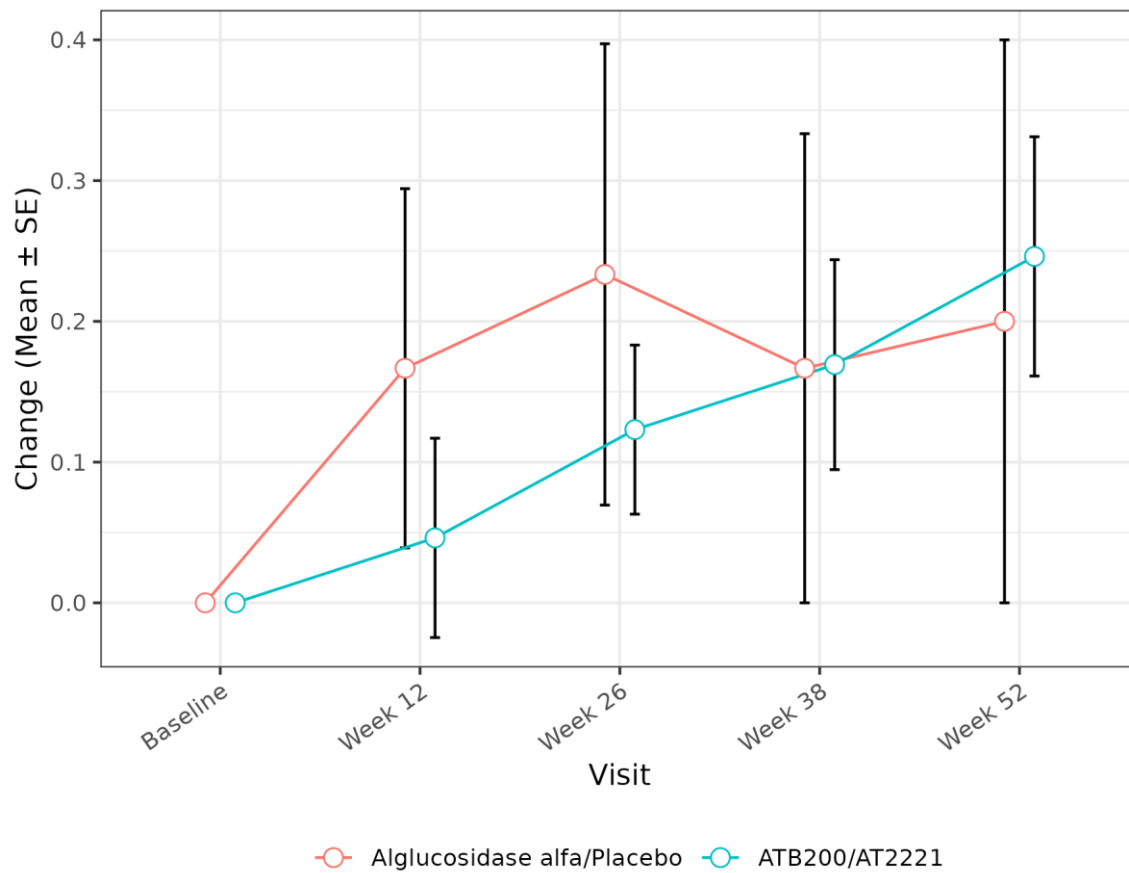
PROPEL ERT experienced	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	65	30	-
<b>Veränderung des SGIC-Wertes - Aktivitäten des täglichen Lebens</b>			
<b>Änderung zu Woche 12</b>			
n/N (%)	65/65 (100)	30/30 (100)	Hedges' g -0,19 [-0,628; 0,239] 0,3785
MW (SD)	0,05 (0,571)	0,17 (0,699)	
LS MW (SE)	0,06 (0,076)	0,13 (0,113)	LS MD -0,06 [-0,337; 0,213] 0,6557
95 %-KI	-0,086; 0,215	-0,098; 0,352	
<b>Änderung zu Woche 26</b>			
n/N (%)	65/65 (100)	30/30 (100)	Hedges' g -0,17 [-0,604; 0,263] 0,4413
MW (SD)	0,12 (0,484)	0,23 (0,898)	
LS MW (SE)	0,14 (0,078)	0,20 (0,117)	LS MD -0,06 [-0,346; 0,221] 0,6628
95 %-KI	-0,017; 0,293	-0,031; 0,432	
<b>Änderung zu Woche 38</b>			
n/N (%)	65/65 (100)	30/30 (100)	Hedges' g 0,00 [-0,429; 0,436] 0,9871
MW (SD)	0,17 (0,601)	0,17 (0,913)	
LS MW (SE)	0,17 (0,088)	0,16 (0,131)	LS MD 0,01 [-0,310; 0,327] 0,9564
95 %-KI	-0,003; 0,346	-0,098; 0,423	
<b>Änderung zu Woche 52</b>			
n/N (%)	65/65 (100)	30/30 (100)	



<b>PROPEL ERT experienced</b>	<b>Behandlungsarm</b>		<b>Effektmaß [95 %-KI] p-Wert</b>
	<b>Cipaglusidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>	
<b>N</b>	<b>65</b>	<b>30</b>	-
<b>MW (SD)</b>	0,25 (0,685)	0,20 (1,095)	Hedges' g 0,05 [-0,378; 0,487] 0,8039
<b>LS MW (SE)</b>	0,24 (0,106)	0,20 (0,159)	LS MD 0,04 [-0,345; 0,425] 0,8368
<b>95 %-KI</b>	0,033; 0,455	-0,111; 0,519	
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

**35.7.1.10.06.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Aktivitäten des täglichen Lebens  
Mittelwertveränderungsplot**

## 35.7.1.10.06



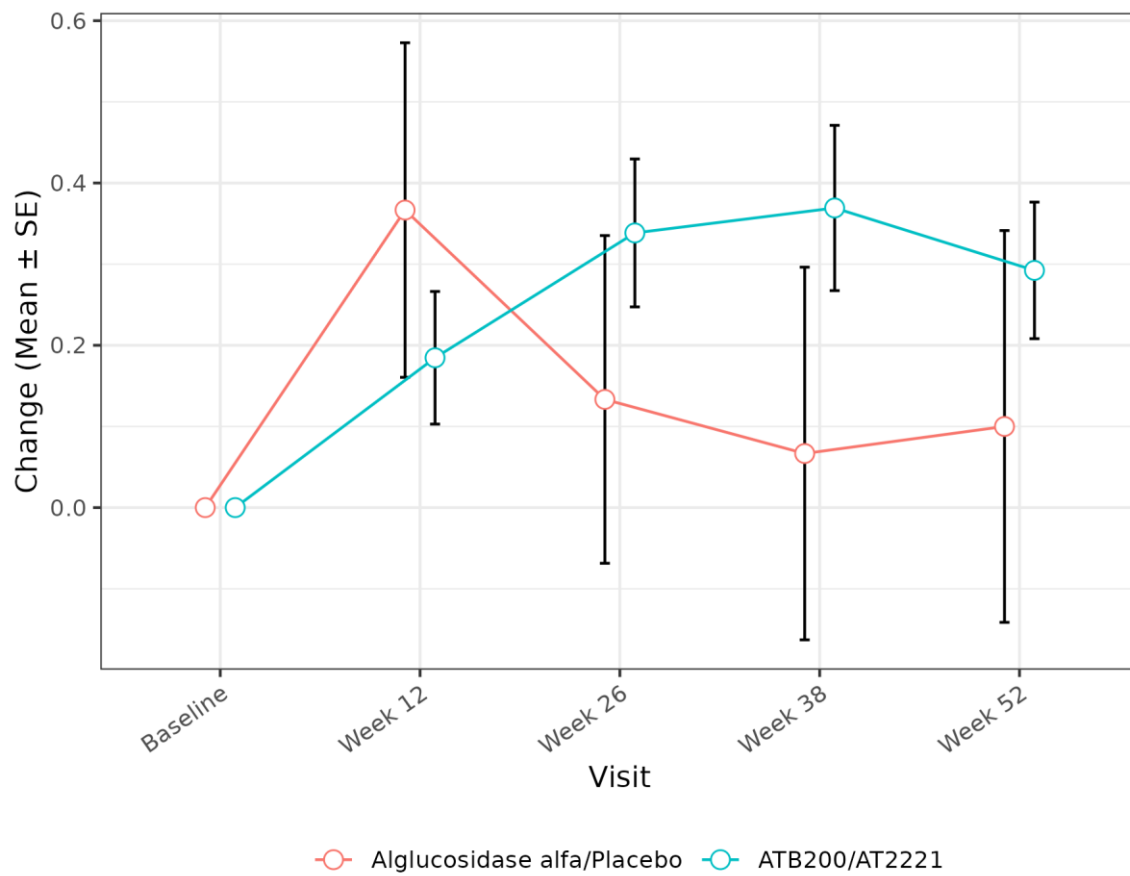
**35.7.1.10.07.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Energielevel****35.7.1.10.07.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Energielevel: Analyse**

PROPEL ERT experienced	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipaglusosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	65	30	-
<b>Veränderung des SGIC-Wertes - Energielevel</b>			
<b>Änderung zu Woche 12</b>			
n/N (%)	65/65 (100)	30/30 (100)	Hedges' g -0,22 [-0,650; 0,217] 0,3281
MW (SD)	0,18 (0,659)	0,37 (1,129)	
LS MW (SE)	0,20 (0,103)	0,33 (0,154)	LS MD -0,12 [-0,498; 0,253] 0,5189
95 %-KI	-0,002; 0,409	0,019; 0,633	
<b>Änderung zu Woche 26</b>			
n/N (%)	65/65 (100)	30/30 (100)	Hedges' g 0,23 [-0,199; 0,668] 0,2895
MW (SD)	0,34 (0,735)	0,13 (1,106)	
LS MW (SE)	0,35 (0,109)	0,11 (0,162)	LS MD 0,24 [-0,150; 0,638] 0,2216
95 %-KI	0,135; 0,567	-0,215; 0,429	
<b>Änderung zu Woche 38</b>			
n/N (%)	65/65 (100)	30/30 (100)	Hedges' g 0,31 [-0,128; 0,742] 0,1668
MW (SD)	0,37 (0,821)	0,07 (1,258)	
LS MW (SE)	0,37 (0,125)	0,07 (0,186)	LS MD 0,30 [-0,148; 0,757] 0,1840
95 %-KI	0,122; 0,618	-0,305; 0,435	
<b>Änderung zu Woche 52</b>			
n/N (%)	65/65 (100)	30/30 (100)	Hedges' g 0,21
MW (SD)	0,29 (0,678)	0,10 (1,322)	

<b>PROPEL ERT experienced</b>	<b>Behandlungsarm</b>		<b>Effektmaß [95 %-KI] p-Wert</b>
	<b>Cipagluco­sidase alfa/Miglustat</b>	<b>Algluco­sidase alfa/Placebo</b>	
<b>N</b>	<b>65</b>	<b>30</b>	-
			[-0,228; 0,639] 0,3530
<b>LS MW (SE)</b>	0,31 (0,118)	0,06 (0,176)	<b>LS MD</b> 0,25
<b>95 %-KI</b>	0,076; 0,543	-0,286; 0,412	[-0,180; 0,674] 0,2543
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

**35.7.1.10.07.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Energielevel Mittelwertveränderungsplot**

**35.7.1.10.07**



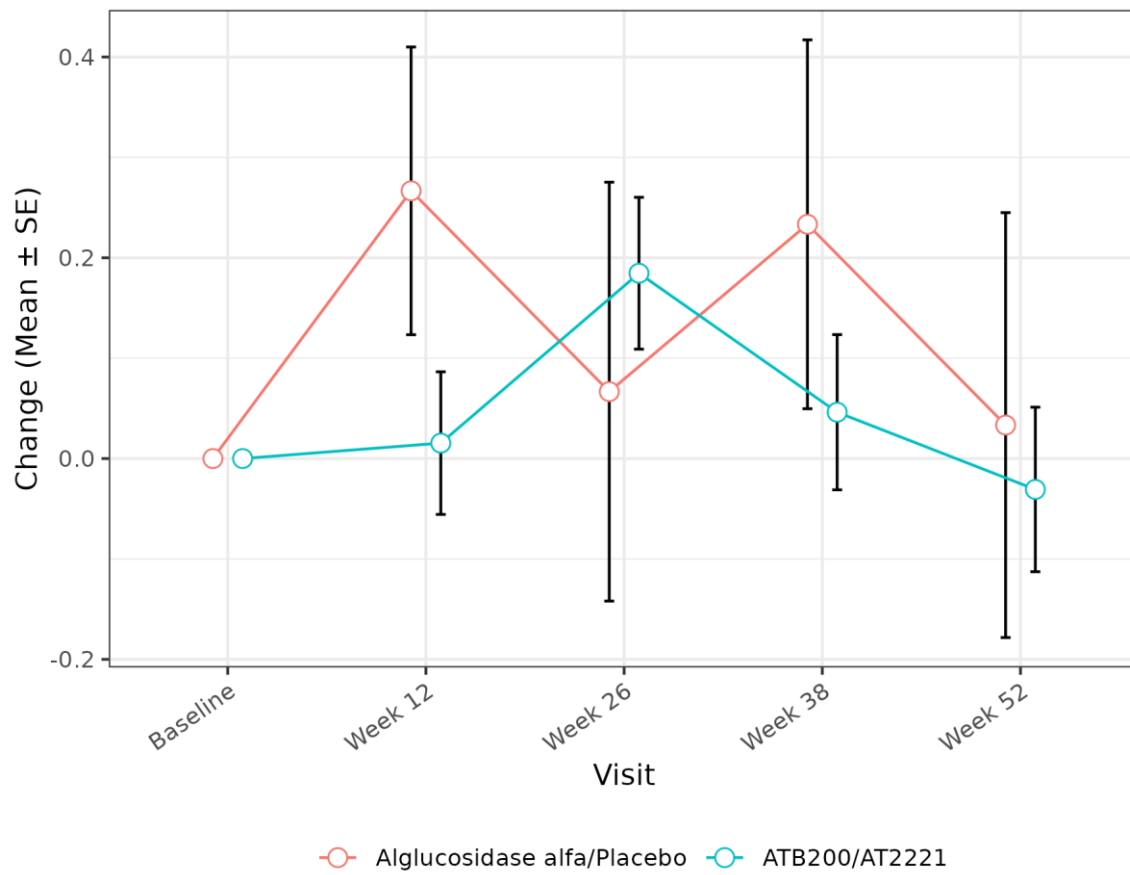
**35.7.1.10.08.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelschmerzen****35.7.1.10.08.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelschmerzen: Analyse**

PROPEL ERT experienced	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	65	30	-
<b>Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelschmerzen</b>			
<b>Änderung zu Woche 12</b>			
n/N (%)	65/65 (100)	30/30 (100)	Hedges' g -0,39 [-0,822; 0,051] 0,0831
MW (SD)	0,02 (0,573)	0,27 (0,785)	
LS MW (SE)	0,02 (0,082)	0,26 (0,122)	LS MD -0,25 [-0,545; 0,049] 0,1001
95 %-KI	-0,146; 0,179	0,022; 0,507	
<b>Änderung zu Woche 26</b>			
n/N (%)	65/65 (100)	30/30 (100)	Hedges' g 0,14 [-0,289; 0,577] 0,5155
MW (SD)	0,18 (0,610)	0,07 (1,143)	
LS MW (SE)	0,21 (0,102)	0,02 (0,152)	LS MD 0,19 [-0,184; 0,557] 0,3188
95 %-KI	0,003; 0,409	-0,283; 0,322	
<b>Änderung zu Woche 38</b>			
n/N (%)	65/65 (100)	30/30 (100)	Hedges' g -0,24 [-0,677; 0,191] 0,2722
MW (SD)	0,05 (0,623)	0,23 (1,006)	
LS MW (SE)	0,03 (0,096)	0,26 (0,144)	LS MD -0,22 [-0,573; 0,125] 0,2053
95 %-KI	-0,157; 0,226	-0,027; 0,544	
<b>Änderung zu Woche 52</b>			
n/N (%)	65/65 (100)	30/30 (100)	Hedges' g -0,07
MW (SD)	-0,03 (0,661)	0,03 (1,159)	

<b>PROPEL ERT experienced</b>	<b>Behandlungsarm</b>		<b>Effektmaß [95 %-KI] p-Wert</b>
	<b>Cipaglucosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>	
<b>N</b>	<b>65</b>	<b>30</b>	-
			[-0,508; 0,358] 0,7342
LS MW (SE)	-0,03 (0,109)	0,03 (0,162)	LS MD -0,06
95 %-KI	-0,246; 0,186	-0,291; 0,354	[-0,455; 0,333] 0,7594
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

**35.7.1.10.08.1. Veränderung des SGIC-Wertes - Muskelschmerzen  
Mittelwertveränderungsplot**

35.7.1.10.08





**35.7.1.10.09.2. Verbesserung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden****35.7.1.10.09.2. Verbesserung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden: Analyse**

PROPEL ERT experienced	Behandlungsarm		Cipaglucosidase alfa/Miglustat vs. Alglucosidase alfa/Placebo Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	RR	OR	ARR
N	65	30			
<b>Verbesserung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden</b>					
Non-Responder	24 (37%)	8 (27%)	1,42 [0,694; 2,910]	1,64 [0,627; 4,292]	0,11 [-0,092; 0,306]
LOCF	24 (37%)	8 (27%)	0,3372	0,3131	0,2900
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

**35.7.1.10.09.2. Verbesserung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden: Interaktionstest**

<b>Verbesserung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	
Non-Responder	0,0611
LOCF	0,0611
02	
Non-Responder	0,3624
LOCF	0,3624
03	
Non-Responder	0,3029
LOCF	0,3029
04	
Non-Responder	0,2335
LOCF	0,2335
05	
Non-Responder	NA
LOCF	NA
06	
Non-Responder	0,3218
LOCF	0,3218
07	
Non-Responder	0,9517
LOCF	0,9517
08	
Non-Responder	0,3146
LOCF	0,3146
09	

<b>Verbesserung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
Non-Responder	0,9826
LOCF	0,9826
10	
Non-Responder	0,4897
LOCF	0,4897
<i>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

### 35.7.1.10.09.2. Verbesserung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden: Subgruppenanalyse

<b>Verbesserung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden</b>			
		<b>Cipaglusosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>07_1</b>			
Non-Responder	N	34	16
	Patienten mit Ereignis, n (%)	12 (35)	4 (25)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,50 [0,515; 4,366] p = 0,4570	
LOCF	N	34	16
	Patienten mit Ereignis, n (%)	12 (35)	4 (25)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,50 [0,515; 4,366] p = 0,4570	
<b>07_2</b>			
Non-Responder	N	31	14
	Patienten mit Ereignis, n (%)	12 (39)	4 (29)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,35 [0,515; 3,525] p = 0,5440	
LOCF	N	31	14
	Patienten mit Ereignis, n (%)	12 (39)	4 (29)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,35 [0,515; 3,525] p = 0,5440	
<b>08_1</b>			
Non-Responder	N	35	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	14 (40)	3 (20)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,87 [0,554; 6,337] p = 0,3128	
LOCF	N	35	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	14 (40)	3 (20)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,87 [0,554; 6,337] p = 0,3128	

<b>Verbesserung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidade alfa/Placebo</b>
<b>08_2</b>			
Non-Responder	N	30	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	10 (33)	5 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,01 [0,360; 2,813] p = 0,9913	
LOCF	N	30	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	10 (33)	5 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,01 [0,360; 2,813] p = 0,9913	
<b>05_1</b>			
Non-Responder	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	24 (37)	8 (27)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,42 [0,694; 2,910] p = 0,3372	
LOCF	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	24 (37)	8 (27)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,42 [0,694; 2,910] p = 0,3372	
<b>10_1</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_2</b>			
Non-Responder	N	47	24
	Patienten mit Ereignis, n (%)	17 (36)	7 (29)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,23 [0,574; 2,638] p = 0,5942	
LOCF	N	47	24

<b>Verbesserung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Algluco- sidade alfa/Placebo</b>
	Patienten mit Ereignis, n (%)	17 (36)	7 (29)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,23 [0,574; 2,638] p = 0,5942	
<b>03_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>03_2</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>03_3</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>01_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>01_2</b>			
	N	37	16
Non-Responder	Patienten mit Ereignis, n (%)	15 (41)	7 (44)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,91 [0,392; 2,091] p = 0,8165	
	N	37	16
LOCF	Patienten mit Ereignis, n (%)	15 (41)	7 (44)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,91 [0,392; 2,091] p = 0,8165	
	N	37	16
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

**35.7.1.10.10.2. Verschlechterung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden****35.7.1.10.10.2. Verschlechterung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden: Analyse**

PROPEL ERT experienced	Behandlungsarm		Cipagluco­sidase alfa/Miglustat vs. Alglucosidase alfa/Placebo		
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
N	65	30	RR	OR	ARR
<b>Verschlechterung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden</b>					
Non-Responder	12 (18%)	12 (40%)	0,49 [0,259; 0,943] 0,0326	0,36 [0,137; 0,959] 0,0409	-0,20 [-0,403; -0,002] 0,0483
LOCF	11 (17%)	11 (37%)	0,50 [0,251; 0,984] 0,0449	0,37 [0,136; 1,017] 0,0540	-0,18 [-0,378; 0,011] 0,0651
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

**35.7.1.10.10.2. Verschlechterung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden: Interaktionstest**

<b>Verschlechterung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	
Non-Responder	0,5063
LOCF	0,5052
02	
Non-Responder	0,2410
LOCF	0,2718
03	
Non-Responder	0,2992
LOCF	0,2006
04	
Non-Responder	0,3363
LOCF	0,3419
05	
Non-Responder	NA
LOCF	NA
06	
Non-Responder	0,4795
LOCF	0,6690
07	
Non-Responder	0,3768
LOCF	0,6660
08	
Non-Responder	0,2500
LOCF	0,0968
09	



<b>Verschlechterung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
Non-Responder	0,8517
LOCF	0,8591
10	
Non-Responder	0,1130
LOCF	0,3000
<i>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

### 35.7.1.10.10.2. Verschlechterung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden: Subgruppenanalyse

Verschlechterung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden			
		Cipagluco- sidade alfa/Miglustat	Algluco- sidade alfa/Placebo
<b>07_1</b>			
Non-Responder		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>07_2</b>			
Non-Responder		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>08_1</b>			
Non-Responder		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>08_2</b>			
Non-Responder		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>05_1</b>			
Non-Responder	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	12 (18)	12 (40)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,49 [0,259; 0,943] p = 0,0326	
LOCF	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	11 (17)	11 (37)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,50 [0,251; 0,984] p = 0,0449	
<b>10_1</b>			
Non-Responder		Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten	
LOCF		Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten	
<b>10_2</b>			

<b>Verschlechterung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden</b>			
		<b>Cipagluco­sidase alfa/Miglustat</b>	<b>Algluco­sidase alfa/Placebo</b>
Non-Responder	N	47	24
	Patienten mit Ereignis, n (%)	10 (21)	8 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,63 [0,294; 1,365] p = 0,2442	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>03_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>03_2</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>03_3</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>01_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>01_2</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

**35.7.1.10.11.2. Keine Veränderung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden****35.7.1.10.11.2. Keine Veränderung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden: Analyse**

PROPEL ERT experienced	Behandlungsarm		Cipagluco­sidase alfa/Miglustat vs. Alglucosidase alfa/Placebo		
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
N	65	30	RR	OR	ARR
<b>Keine Veränderung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden</b>					
Non-Responder	29 (45%)	10 (33%)	1,28 [0,731; 2,224] 0,3917	1,51 [0,602; 3,806] 0,3785	0,09 [-0,112; 0,302] 0,3686
LOCF	30 (46%)	11 (37%)	1,20 [0,715; 2,013] 0,4910	1,38 [0,558; 3,437] 0,4828	0,08 [-0,134; 0,286] 0,4777
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

**35.7.1.10.11.2. Keine Veränderung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden: Interaktionstest**

<b>Keine Veränderung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	
Non-Responder	0,0783
LOCF	0,0529
02	
Non-Responder	0,3187
LOCF	0,3154
03	
Non-Responder	0,0167
LOCF	0,0473
04	
Non-Responder	0,1097
LOCF	0,1919
05	
Non-Responder	NA
LOCF	NA
06	
Non-Responder	0,3574
LOCF	0,3201
07	
Non-Responder	0,2590
LOCF	0,5116
08	
Non-Responder	0,7178
LOCF	0,8998

<b>Keine Veränderung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
09	
Non-Responder	0,5685
LOCF	0,6446
10	
Non-Responder	0,2287
LOCF	0,7297
<i>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

### 35.7.1.10.11.2. Keine Veränderung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden: Subgruppenanalyse

<b>Keine Veränderung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden</b>			
		<b>Cipaglusidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>07_1</b>			
Non-Responder	N	34	16
	Patienten mit Ereignis, n (%)	16 (47)	4 (25)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,67 [0,701; 4,001] p = 0,2456	
LOCF	N	34	16
	Patienten mit Ereignis, n (%)	16 (47)	5 (31)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,34 [0,629; 2,855] p = 0,4483	
<b>07_2</b>			
Non-Responder	N	31	14
	Patienten mit Ereignis, n (%)	13 (42)	6 (43)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,00 [0,484; 2,065] p = 1,0000	
LOCF	N	31	14
	Patienten mit Ereignis, n (%)	14 (45)	6 (43)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,08 [0,532; 2,196] p = 0,8293	
<b>08_1</b>			
Non-Responder	N	35	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	17 (49)	6 (40)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,31 [0,652; 2,623] p = 0,4495	
LOCF	N	35	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	18 (51)	6 (40)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,33 [0,661; 2,688] p = 0,4213	

<b>Keine Veränderung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden</b>			
		<b>Cipaglucosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>08_2</b>			
Non-Responder	N	30	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	12 (40)	4 (27)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,90 [0,728; 4,957] p = 0,1896	
LOCF	N	30	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	12 (40)	5 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,38 [0,619; 3,071] p = 0,4315	
<b>05_1</b>			
Non-Responder	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	29 (45)	10 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,28 [0,731; 2,224] p = 0,3917	
LOCF	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	30 (46)	11 (37)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,20 [0,715; 2,013] p = 0,4910	
<b>10_1</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_2</b>			
Non-Responder	N	47	24
	Patienten mit Ereignis, n (%)	20 (43)	9 (38)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,16 [0,630; 2,134] p = 0,6340	
LOCF	N	47	24



<b>Keine Veränderung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden</b>			
		<b>Cipaglicosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
	Patienten mit Ereignis, n (%)	21 (45)	9 (38)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,23 [0,677; 2,228] p = 0,4990	
<b>03_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>03_2</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>03_3</b>			
	N	18	12
Non-Responder	Patienten mit Ereignis, n (%)	10 (56)	1 (8)
	RR [95 %-KI] p-Wert	7,33 [0,825; 65,176] p = 0,0739	
	N	18	12
LOCF	Patienten mit Ereignis, n (%)	11 (61)	2 (17)
	RR [95 %-KI] p-Wert	3,57 [0,961; 13,272] p = 0,0573	
<b>01_1</b>			
	N	28	14
Non-Responder	Patienten mit Ereignis, n (%)	12 (43)	7 (50)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,85 [0,442; 1,629] p = 0,6220	
	N	28	14
LOCF	Patienten mit Ereignis, n (%)	13 (46)	8 (57)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,80 [0,449; 1,416] p = 0,4398	
<b>01_2</b>			

<b>Keine Veränderung im SGI - Allgemeines körperliches Wohlbefinden</b>			
		<b>Cipaglicosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
Non-Responder	N	37	16
	Patienten mit Ereignis, n (%)	17 (46)	3 (19)
	RR [95 %-KI] p-Wert	2,49 [0,904; 6,839] p = 0,0778	
LOCF	N	37	16
	Patienten mit Ereignis, n (%)	17 (46)	3 (19)
	RR [95 %-KI] p-Wert	2,49 [0,904; 6,839] p = 0,0778	
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

**35.7.1.10.12.2. Verbesserung im SGI - Atemanstrengung****35.7.1.10.12.2. Verbesserung im SGI - Atemanstrengung: Analyse**

PROPEL ERT experienced	Behandlungsarm		Cipaglucosidase alfa/Miglustat vs. Alglucosidase alfa/Placebo Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	RR	OR	ARR
N	65	30			
<b>Verbesserung im SGI - Atemanstrengung</b>					
Non-Responder	12 (18%)	4 (13%)	1,41 [0,480; 4,146] 0,5321	1,51 [0,430; 5,279] 0,5216	0,05 [-0,100; 0,206] 0,4978
LOCF	13 (20%)	4 (13%)	1,54 [0,530; 4,463] 0,4279	1,68 [0,484; 5,811] 0,4148	0,07 [-0,086; 0,224] 0,3803
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

**35.7.1.10.12.2. Verbesserung im SGI - Atemanstrengung: Interaktionstest**

<b>Verbesserung im SGI - Atemanstrengung: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	
Non-Responder	0,0811
LOCF	0,0465
02	
Non-Responder	0,8792
LOCF	0,8897
03	
Non-Responder	0,0368
LOCF	0,0612
04	
Non-Responder	0,0352
LOCF	0,0228
05	
Non-Responder	NA
LOCF	NA
06	
Non-Responder	0,6450
LOCF	0,8332
07	
Non-Responder	0,7611
LOCF	0,6126
08	
Non-Responder	0,6219
LOCF	0,5435
09	

<b>Verbesserung im SGI - Atemanstrengung: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
Non-Responder	0,3977
LOCF	0,3980
10	
Non-Responder	0,2968
LOCF	0,3129
<i>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

**35.7.1.10.12.2. Verbesserung im SGI - Atemanstrengung: Subgruppenanalyse**

<b>Verbesserung im SGI - Atemanstrengung</b>			
		<b>Cipagluco- sidase alfa/Miglustat</b>	<b>Algluco- sidase alfa/Placebo</b>
<b>07_1</b>			
Non-Responder		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>07_2</b>			
Non-Responder		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>08_1</b>			
Non-Responder		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>08_2</b>			
Non-Responder		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>05_1</b>			
Non-Responder	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	12 (18)	4 (13)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,41 [0,480; 4,146] p = 0,5321	
LOCF	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	13 (20)	4 (13)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,54 [0,530; 4,463] p = 0,4279	
<b>10_1</b>			
Non-Responder		Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten	
LOCF		Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten	
<b>10_2</b>			
Non-Responder	N	47	24

<b>Verbesserung im SGI - Atemanstrengung</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Algluco- sidade alfa/Placebo</b>
	Patienten mit Ereignis, n (%)	10 (21)	4 (17)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,18 [0,406; 3,459] p = 0,7563	
LOCF	N	47	24
	Patienten mit Ereignis, n (%)	11 (23)	4 (17)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,34 [0,469; 3,806] p = 0,5874	
<b>03_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>03_2</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>03_3</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>01_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>01_2</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

**35.7.1.10.13.2. Verschlechterung im SGI - Atemanstrengung****35.7.1.10.13.2. Verschlechterung im SGI - Atemanstrengung: Analyse**

PROPEL ERT experienced	Behandlungsarm		Cipaglucosidase alfa/Miglustat vs. Alglucosidase alfa/Placebo Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	RR	OR	ARR
N	65	30			
<b>Verschlechterung im SGI - Atemanstrengung</b>					
Non-Responder	9 (14%)	5 (17%)	0,83 [0,292; 2,355] 0,7250	0,81 [0,244; 2,667] 0,7237	-0,03 [-0,188; 0,131] 0,7301
LOCF	5 (8%)	4 (13%)	0,58 [0,158; 2,159] 0,4195	0,55 [0,134; 2,282] 0,4131	-0,05 [-0,191; 0,084] 0,4450
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					



**35.7.1.10.13.2. Verschlechterung im SGI - Atemanstrengung: Interaktionstest**

<b>Verschlechterung im SGI - Atemanstrengung: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	
Non-Responder	0,2457
LOCF	0,2279
02	
Non-Responder	0,1024
LOCF	0,2324
03	
Non-Responder	0,0779
LOCF	0,0421
04	
Non-Responder	0,3607
LOCF	0,5650
05	
Non-Responder	NA
LOCF	NA
06	
Non-Responder	0,3092
LOCF	0,5439
07	
Non-Responder	0,0058
LOCF	0,0005
08	
Non-Responder	0,1225
LOCF	0,0467
09	

<b>Verschlechterung im SGI - Atemanstrengung: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
Non-Responder	0,3076
LOCF	0,2473
10	
Non-Responder	0,0156
LOCF	0,0096
<i>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

**35.7.1.10.13.2. Verschlechterung im SGI - Atemanstrengung: Subgruppenanalyse**

<b>Verschlechterung im SGI - Atemanstrengung</b>		
	<b>Cipagluco- sidas- e alfa/ Miglustat</b>	<b>Algluco- sidas- e alfa/ Placebo</b>
<b>07_1</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>07_2</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>05_1</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>10_1</b>		
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten	
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten	
<b>10_2</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>03_1</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>03_2</b>		
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten	
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten	
<b>03_3</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	

**35.7.1.10.14.2. Keine Veränderung im SGI - Atemanstrengung****35.7.1.10.14.2. Keine Veränderung im SGI - Atemanstrengung: Analyse**

PROPEL ERT experienced	Behandlungsarm		Cipaglucosidase alfa/Miglustat vs. Alglucosidase alfa/Placebo Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	RR	OR	ARR
N	65	30			
<b>Keine Veränderung im SGI - Atemanstrengung</b>					
Non-Responder	44 (68%)	21 (70%)	0,96 [0,727; 1,281] 0,8049	0,89 [0,344; 2,303] 0,8101	-0,02 [-0,225; 0,176] 0,8085
LOCF	47 (72%)	22 (73%)	0,98 [0,757; 1,265] 0,8704	0,92 [0,343; 2,485] 0,8738	-0,02 [-0,208; 0,176] 0,8728
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

**35.7.1.10.14.2. Keine Veränderung im SGI - Atemanstrengung: Interaktionstest**

<b>Keine Veränderung im SGI - Atemanstrengung: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	
Non-Responder	0,1735
LOCF	0,1171
02	
Non-Responder	0,2140
LOCF	0,2108
03	
Non-Responder	0,0206
LOCF	0,0898
04	
Non-Responder	0,0357
LOCF	0,0442
05	
Non-Responder	NA
LOCF	NA
06	
Non-Responder	0,6777
LOCF	0,6300
07	
Non-Responder	0,0486
LOCF	0,1143
08	
Non-Responder	0,4633
LOCF	0,5396
09	

<b>Keine Veränderung im SGI - Atemanstrengung: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
Non-Responder	0,3017
LOCF	0,2208
10	
Non-Responder	0,0656
LOCF	0,2080
<i>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

**35.7.1.10.14.2. Keine Veränderung im SGI - Atemanstrengung: Subgruppenanalyse**

<b>Keine Veränderung im SGI - Atemanstrengung</b>			
		<b>Cipaglucosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>07_1</b>			
Non-Responder	N	34	16
	Patienten mit Ereignis, n (%)	25 (74)	9 (56)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,30 [0,806; 2,088] p = 0,2831	
LOCF	N	34	16
	Patienten mit Ereignis, n (%)	26 (76)	10 (62)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,20 [0,793; 1,823] p = 0,3862	
<b>07_2</b>			
Non-Responder	N	31	14
	Patienten mit Ereignis, n (%)	19 (61)	12 (86)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,72 [0,509; 1,032] p = 0,0742	
LOCF	N	31	14
	Patienten mit Ereignis, n (%)	21 (68)	12 (86)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,80 [0,577; 1,105] p = 0,1745	
<b>08_1</b>			
Non-Responder	N	35	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	23 (66)	9 (60)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,15 [0,707; 1,862] p = 0,5779	
LOCF	N	35	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	23 (66)	9 (60)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,15 [0,707; 1,862] p = 0,5779	
<b>08_2</b>			

<b>Keine Veränderung im SGI - Atemanstrengung</b>			
		<b>Cipaglicosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
Non-Responder	N	30	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	21 (70)	12 (80)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,01 [0,717; 1,419] p = 0,9604	
LOCF	N	30	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	24 (80)	13 (87)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,02 [0,795; 1,301] p = 0,8927	
<b>05_1</b>			
Non-Responder	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	44 (68)	21 (70)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,96 [0,727; 1,281] p = 0,8049	
LOCF	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	47 (72)	22 (73)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,98 [0,757; 1,265] p = 0,8704	
<b>10_1</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_2</b>			
Non-Responder	N	47	24
	Patienten mit Ereignis, n (%)	29 (62)	18 (75)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,83 [0,599; 1,144] p = 0,2511	
LOCF	N	47	24
	Patienten mit Ereignis, n (%)	31 (66)	18 (75)



<b>Keine Veränderung im SGI - Atemanstrengung</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,89 [0,652; 1,208] p = 0,4472	
<b>03_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>03_2</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>03_3</b>			
Non-Responder	N	18	12
	Patienten mit Ereignis, n (%)	14 (78)	5 (42)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,88 [0,841; 4,215] p = 0,1240	
LOCF	N	18	12
	Patienten mit Ereignis, n (%)	14 (78)	6 (50)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,52 [0,775; 2,997] p = 0,2222	
<b>01_1</b>			
Non-Responder	N	28	14
	Patienten mit Ereignis, n (%)	19 (68)	12 (86)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,80 [0,565; 1,124] p = 0,1959	
LOCF	N	28	14
	Patienten mit Ereignis, n (%)	21 (75)	13 (93)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,81 [0,612; 1,074] p = 0,1440	
<b>01_2</b>			
Non-Responder	N	37	16

<b>Keine Veränderung im SGI - Atemanstrengung</b>			
		<b>Cipaglicosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
	Patienten mit Ereignis, n (%)	25 (68)	9 (56)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,22 [0,738; 2,003] p = 0,4422	
LOCF	N	37	16
	Patienten mit Ereignis, n (%)	26 (70)	9 (56)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,25 [0,764; 2,061] p = 0,3706	
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

**35.7.1.10.15.2. Verbesserung im SGI - Muskelkraft****35.7.1.10.15.2. Verbesserung im SGI - Muskelkraft: Analyse**

PROPEL ERT experienced	Behandlungsarm		Cipagluco­sidase alfa/Miglustat vs. Alglucosidase alfa/Placebo		
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
N	65	30	RR	OR	ARR
<b>Verbesserung im SGI - Muskelkraft</b>					
Non-Responder	20 (31%)	8 (27%)	1,23 [0,605; 2,514]	1,35 [0,499; 3,643]	0,06 [-0,132; 0,251]
LOCF	20 (31%)	8 (27%)	0,5645	0,5556	0,5436
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

**35.7.1.10.15.2. Verbesserung im SGI - Muskelkraft: Interaktionstest**

<b>Verbesserung im SGI - Muskelkraft: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	
Non-Responder	0,0556
LOCF	0,0556
02	
Non-Responder	0,3139
LOCF	0,3139
03	
Non-Responder	0,4221
LOCF	0,4221
04	
Non-Responder	0,3571
LOCF	0,3571
05	
Non-Responder	NA
LOCF	NA
06	
Non-Responder	0,6702
LOCF	0,6702
07	
Non-Responder	0,5364
LOCF	0,5364
08	
Non-Responder	0,1027
LOCF	0,1027
09	

<b>Verbesserung im SGI - Muskelkraft: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
Non-Responder	0,9171
LOCF	0,9171
10	
Non-Responder	0,6698
LOCF	0,6698
<i>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

**35.7.1.10.15.2. Verbesserung im SGI - Muskelkraft: Subgruppenanalyse**

<b>Verbesserung im SGI - Muskelkraft</b>			
		<b>Cipaglicosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>07_1</b>			
Non-Responder	N	34	16
	Patienten mit Ereignis, n (%)	12 (35)	4 (25)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,59 [0,580; 4,348] p = 0,3679	
LOCF	N	34	16
	Patienten mit Ereignis, n (%)	12 (35)	4 (25)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,59 [0,580; 4,348] p = 0,3679	
<b>07_2</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>08_1</b>			
Non-Responder	N	35	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	14 (40)	3 (20)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,90 [0,585; 6,191] p = 0,2850	
LOCF	N	35	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	14 (40)	3 (20)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,90 [0,585; 6,191] p = 0,2850	
<b>08_2</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>05_1</b>			
Non-Responder	N	65	30

<b>Verbesserung im SGI - Muskelkraft</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
	Patienten mit Ereignis, n (%)	20 (31)	8 (27)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,23 [0,605; 2,514] p = 0,5645	
LOCF	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	20 (31)	8 (27)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,23 [0,605; 2,514] p = 0,5645	
<b>10_1</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_2</b>			
Non-Responder	N	47	24
	Patienten mit Ereignis, n (%)	15 (32)	7 (29)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,08 [0,495; 2,350] p = 0,8493	
LOCF	N	47	24
	Patienten mit Ereignis, n (%)	15 (32)	7 (29)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,08 [0,495; 2,350] p = 0,8493	
<b>03_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>03_2</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>03_3</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		

<b>Verbesserung im SGI - Muskelkraft</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>01_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>01_2</b>			
Non-Responder	N	37	16
	Patienten mit Ereignis, n (%)	12 (32)	7 (44)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,81 [0,364; 1,800] p = 0,6037	
LOCF	N	37	16
	Patienten mit Ereignis, n (%)	12 (32)	7 (44)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,81 [0,364; 1,800] p = 0,6037	
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			



**35.7.1.10.16.2. Verschlechterung im SGI - Muskelkraft****35.7.1.10.16.2. Verschlechterung im SGI - Muskelkraft: Analyse**

PROPEL ERT experienced	Behandlungsarm		Cipaglucosidase alfa/Miglustat vs. Alglucosidase alfa/Placebo Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	RR	OR	ARR
N	65	30			
<b>Verschlechterung im SGI - Muskelkraft</b>					
Non-Responder	15 (23%)	11 (37%)	0,66 [0,353; 1,250] 0,2050	0,55 [0,213; 1,428] 0,2205	-0,12 [-0,324; 0,079] 0,2348
LOCF	13 (20%)	10 (33%)	0,64 [0,321; 1,257] 0,1929	0,52 [0,193; 1,426] 0,2062	-0,12 [-0,313; 0,073] 0,2240
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

**35.7.1.10.16.2. Verschlechterung im SGI - Muskelkraft: Interaktionstest**

<b>Verschlechterung im SGI - Muskelkraft: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	
Non-Responder	0,8055
LOCF	0,6674
02	
Non-Responder	0,2385
LOCF	0,2946
03	
Non-Responder	0,8417
LOCF	0,7669
04	
Non-Responder	0,1500
LOCF	0,2169
05	
Non-Responder	NA
LOCF	NA
06	
Non-Responder	0,6467
LOCF	0,8421
07	
Non-Responder	0,8740
LOCF	0,5689
08	
Non-Responder	0,6920
LOCF	0,4755
09	

<b>Verschlechterung im SGI - Muskelkraft: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
Non-Responder	0,1206
LOCF	0,2586
10	
Non-Responder	0,2401
LOCF	0,6334
<i>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

**35.7.1.10.16.2. Verschlechterung im SGI - Muskelkraft: Subgruppenanalyse**

<b>Verschlechterung im SGI - Muskelkraft</b>			
		<b>Cipagluco- sidas- e alfa/ Miglustat</b>	<b>Algluco- sidas- e alfa/ Placebo</b>
<b>07_1</b>			
Non-Responder		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>07_2</b>			
Non-Responder		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>08_1</b>			
Non-Responder		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>08_2</b>			
	N	30	15
Non-Responder	Patienten mit Ereignis, n (%)	10 (33)	7 (47)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,61 [0,297; 1,261] p = 0,1833	
LOCF		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>05_1</b>			
	N	65	30
Non-Responder	Patienten mit Ereignis, n (%)	15 (23)	11 (37)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,66 [0,353; 1,250] p = 0,2050	
	N	65	30
LOCF	Patienten mit Ereignis, n (%)	13 (20)	10 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,64 [0,321; 1,257] p = 0,1929	
<b>10_1</b>			
Non-Responder		Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten	

<b>Verschlechterung im SGI - Muskelkraft</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_2</b>			
Non-Responder	N	47	24
	Patienten mit Ereignis, n (%)	11 (23)	7 (29)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,79 [0,361; 1,740] p = 0,5623	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>03_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>03_2</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>03_3</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>01_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>01_2</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

**35.7.1.10.17.2. Keine Veränderung im SGI - Muskelkraft****35.7.1.10.17.2. Keine Veränderung im SGI - Muskelkraft: Analyse**

PROPEL ERT experienced	Behandlungsarm		Cipaglusidase alfa/Miglustat vs. Alglucosidase alfa/Placebo Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
	Cipaglusidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	RR	OR	ARR
N	65	30			
<b>Keine Veränderung im SGI - Muskelkraft</b>					
Non-Responder	30 (46%)	11 (37%)	1,16 [0,694; 1,954] 0,5632	1,32 [0,524; 3,349] 0,5522	0,06 [-0,143; 0,268] 0,5493
LOCF	32 (49%)	12 (40%)	1,14 [0,710; 1,845] 0,5787	1,31 [0,520; 3,280] 0,5692	0,06 [-0,147; 0,267] 0,5679
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

**35.7.1.10.17.2. Keine Veränderung im SGI - Muskelkraft: Interaktionstest**

<b>Keine Veränderung im SGI - Muskelkraft: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	
Non-Responder	0,2163
LOCF	0,1959
02	
Non-Responder	0,6239
LOCF	0,6190
03	
Non-Responder	0,3097
LOCF	0,3330
04	
Non-Responder	0,0115
LOCF	0,0328
05	
Non-Responder	NA
LOCF	NA
06	
Non-Responder	0,9951
LOCF	0,8507
07	
Non-Responder	0,9347
LOCF	0,5066
08	
Non-Responder	0,0800
LOCF	0,1653
09	

<b>Keine Veränderung im SGI - Muskelkraft: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
Non-Responder	0,1345
LOCF	0,2534
10	
Non-Responder	0,1888
LOCF	0,7023
<i>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	



**35.7.1.10.17.2. Keine Veränderung im SGI - Muskelkraft: Subgruppenanalyse**

<b>Keine Veränderung im SGI - Muskelkraft</b>			
		<b>Cipaglucosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>07_1</b>			
Non-Responder	N	34	16
	Patienten mit Ereignis, n (%)	13 (38)	5 (31)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,04 [0,475; 2,279] p = 0,9220	
LOCF	N	34	16
	Patienten mit Ereignis, n (%)	13 (38)	6 (38)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,87 [0,431; 1,742] p = 0,6879	
<b>07_2</b>			
Non-Responder	N	31	14
	Patienten mit Ereignis, n (%)	17 (55)	6 (43)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,27 [0,636; 2,537] p = 0,4978	
LOCF	N	31	14
	Patienten mit Ereignis, n (%)	19 (61)	6 (43)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,43 [0,734; 2,797] p = 0,2924	
<b>08_1</b>			
Non-Responder	N	35	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	16 (46)	8 (53)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,86 [0,505; 1,480] p = 0,5966	
LOCF	N	35	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	17 (49)	8 (53)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,88 [0,520; 1,501] p = 0,6460	
<b>08_2</b>			

<b>Keine Veränderung im SGI - Muskelkraft</b>			
		<b>Cipaglicosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
Non-Responder	N	30	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	14 (47)	3 (20)
	RR [95 %-KI] p-Wert	2,79 [0,873; 8,890] p = 0,0837	
LOCF	N	30	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	15 (50)	4 (27)
	RR [95 %-KI] p-Wert	2,05 [0,847; 4,959] p = 0,1115	
<b>05_1</b>			
Non-Responder	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	30 (46)	11 (37)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,16 [0,694; 1,954] p = 0,5632	
LOCF	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	32 (49)	12 (40)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,14 [0,710; 1,845] p = 0,5787	
<b>10_1</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_2</b>			
Non-Responder	N	47	24
	Patienten mit Ereignis, n (%)	21 (45)	10 (42)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,10 [0,633; 1,895] p = 0,7451	
LOCF	N	47	24
	Patienten mit Ereignis, n (%)	23 (49)	10 (42)

<b>Keine Veränderung im SGI - Muskelkraft</b>			
		<b>Cipaglucosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
RR [95 %-KI] p-Wert		1,22 [0,720; 2,060] p = 0,4628	
<b>03_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>03_2</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>03_3</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>01_1</b>			
Non-Responder	N	28	14
	Patienten mit Ereignis, n (%)	13 (46)	7 (50)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,90 [0,481; 1,700] p = 0,7559	
LOCF	N	28	14
	Patienten mit Ereignis, n (%)	15 (54)	8 (57)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,90 [0,522; 1,538] p = 0,6912	
<b>01_2</b>			
Non-Responder	N	37	16
	Patienten mit Ereignis, n (%)	17 (46)	4 (25)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,67 [0,709; 3,914] p = 0,2419	
LOCF	N	37	16
	Patienten mit Ereignis, n (%)	17 (46)	4 (25)

<b>Keine Veränderung im SGI - Muskelkraft</b>		
	<b>Cipaglicosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,67 [0,709; 3,914] p = 0,2419
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>		

**35.7.1.10.18.2. Verbesserung im SGI - Muskelfunktion****35.7.1.10.18.2. Verbesserung im SGI - Muskelfunktion: Analyse**

PROPEL ERT experienced	Behandlungsarm		Cipaglucosidase alfa/Miglustat vs. Alglucosidase alfa/Placebo Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	RR	OR	ARR
N	65	30			
<b>Verbesserung im SGI - Muskelfunktion</b>					
Non-Responder	17 (26%)	6 (20%)	1,33 [0,573; 3,068] 0,5092	1,44 [0,497; 4,183] 0,5000	0,06 [-0,115; 0,244] 0,4819
LOCF	18 (28%)	6 (20%)	1,40 [0,608; 3,215] 0,4311	1,55 [0,537; 4,463] 0,4184	0,08 [-0,102; 0,259] 0,3950
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

**35.7.1.10.18.2. Verbesserung im SGI - Muskelfunktion: Interaktionstest**

<b>Verbesserung im SGI - Muskelfunktion: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	
Non-Responder	0,1530
LOCF	0,1803
02	
Non-Responder	0,4292
LOCF	0,4241
03	
Non-Responder	0,0671
LOCF	0,0518
04	
Non-Responder	0,1372
LOCF	0,1493
05	
Non-Responder	NA
LOCF	NA
06	
Non-Responder	0,9614
LOCF	0,9329
07	
Non-Responder	0,9278
LOCF	0,9606
08	
Non-Responder	0,1871
LOCF	0,1506
09	

<b>Verbesserung im SGI - Muskelfunktion: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
Non-Responder	0,7237
LOCF	0,6731
10	
Non-Responder	0,5763
LOCF	0,6337
<i>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

**35.7.1.10.18.2. Verbesserung im SGI - Muskelfunktion: Subgruppenanalyse**

<b>Verbesserung im SGI - Muskelfunktion</b>			
		<b>Cipaglusidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>07_1</b>			
Non-Responder		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>07_2</b>			
Non-Responder		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>08_1</b>			
Non-Responder	N	35	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	11 (31)	2 (13)
	RR [95 %-KI] p-Wert	2,13 [0,505; 8,996] p = 0,3034	
LOCF	N	35	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	12 (34)	2 (13)
	RR [95 %-KI] p-Wert	2,39 [0,580; 9,853] p = 0,2275	
<b>08_2</b>			
Non-Responder		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>05_1</b>			
Non-Responder	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	17 (26)	6 (20)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,33 [0,573; 3,068] p = 0,5092	
LOCF	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	18 (28)	6 (20)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,40 [0,608; 3,215] p = 0,4311	



<b>Verbesserung im SGI - Muskelfunktion</b>			
		<b>Cipaglucosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>10_1</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_2</b>			
Non-Responder	N	47	24
	Patienten mit Ereignis, n (%)	11 (23)	5 (21)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,11 [0,427; 2,880] p = 0,8320	
LOCF	N	47	24
	Patienten mit Ereignis, n (%)	12 (26)	5 (21)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,20 [0,470; 3,082] p = 0,6985	
<b>03_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>03_2</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>03_3</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>01_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>01_2</b>			
Non-Responder	N	37	16

<b>Verbesserung im SGI - Muskelfunktion</b>			
		<b>Cipaglicosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
	Patienten mit Ereignis, n (%)	10 (27)	5 (31)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,86 [0,321; 2,279] p = 0,7546	
LOCF	N	37	16
	Patienten mit Ereignis, n (%)	11 (30)	5 (31)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,93 [0,352; 2,436] p = 0,8771	
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

**35.7.1.10.19.2. Verschlechterung im SGI - Muskelfunktion****35.7.1.10.19.2. Verschlechterung im SGI - Muskelfunktion: Analyse**

PROPEL ERT experienced	Behandlungsarm		Cipaglucosidase alfa/Miglustat vs. Alglucosidase alfa/Placebo		
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
N	65	30	RR	OR	ARR
<b>Verschlechterung im SGI - Muskelfunktion</b>					
Non-Responder	13 (20%)	10 (33%)	0,61 [0,302; 1,245] 0,1762	0,52 [0,195; 1,371] 0,1850	-0,13 [-0,325; 0,069] 0,2029
LOCF	9 (14%)	10 (33%)	0,43 [0,197; 0,935] 0,0334	0,33 [0,114; 0,932] 0,0364	-0,19 [-0,377; -0,001] 0,0491
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

**35.7.1.10.19.2. Verschlechterung im SGI - Muskelfunktion: Interaktionstest**

<b>Verschlechterung im SGI - Muskelfunktion: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	
Non-Responder	0,9904
LOCF	0,9262
02	
Non-Responder	0,8314
LOCF	0,7052
03	
Non-Responder	0,5120
LOCF	0,5224
04	
Non-Responder	0,1190
LOCF	0,0846
05	
Non-Responder	NA
LOCF	NA
06	
Non-Responder	0,3412
LOCF	0,6615
07	
Non-Responder	0,2140
LOCF	0,5050
08	
Non-Responder	0,7755
LOCF	0,6125
09	

<b>Verschlechterung im SGI - Muskelfunktion: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
Non-Responder	0,9830
LOCF	0,9446
10	
Non-Responder	0,2894
LOCF	0,4127
<i>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

**35.7.1.10.19.2. Verschlechterung im SGI - Muskelfunktion: Subgruppenanalyse**

<b>Verschlechterung im SGI - Muskelfunktion</b>			
		<b>Cipaglicosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>07_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>07_2</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>08_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>08_2</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>05_1</b>			
Non-Responder	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	13 (20)	10 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,61 [0,302; 1,245] p = 0,1762	
LOCF	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	9 (14)	10 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,43 [0,197; 0,935] p = 0,0334	
<b>10_1</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_2</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		

<b>Verschlechterung im SGI - Muskelfunktion</b>		
	<b>Cipaglicosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>03_1</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>03_2</b>		
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten	
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten	
<b>03_3</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>01_1</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>01_2</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>		

**35.7.1.10.20.2. Keine Veränderung im SGI - Muskelfunktion****35.7.1.10.20.2. Keine Veränderung im SGI - Muskelfunktion: Analyse**

PROPEL ERT experienced	Behandlungsarm		Cipaglucosidase alfa/Miglustat vs. Alglucosidase alfa/Placebo Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	RR	OR	ARR
N	65	30			
<b>Keine Veränderung im SGI - Muskelfunktion</b>					
Non-Responder	35 (54%)	14 (47%)	1,13 [0,726; 1,773] 0,5785	1,29 [0,539; 3,074] 0,5695	0,06 [-0,155; 0,282] 0,5688
LOCF	38 (58%)	14 (47%)	1,23 [0,802; 1,900] 0,3381	1,57 [0,650; 3,802] 0,3157	0,11 [-0,105; 0,326] 0,3144
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					



**35.7.1.10.20.2. Keine Veränderung im SGI - Muskelfunktion: Interaktionstest**

<b>Keine Veränderung im SGI - Muskelfunktion: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	
Non-Responder	0,3415
LOCF	0,4128
02	
Non-Responder	0,6907
LOCF	0,5910
03	
Non-Responder	0,2264
LOCF	0,2262
04	
Non-Responder	0,1285
LOCF	0,0621
05	
Non-Responder	NA
LOCF	NA
06	
Non-Responder	0,3805
LOCF	0,5393
07	
Non-Responder	0,1723
LOCF	0,3142
08	
Non-Responder	0,2143
LOCF	0,1461
09	

<b>Keine Veränderung im SGI - Muskelfunktion: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
Non-Responder	0,4762
LOCF	0,5460
10	
Non-Responder	0,2012
LOCF	0,1588
<i>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

**35.7.1.10.20.2. Keine Veränderung im SGI - Muskelfunktion: Subgruppenanalyse**

<b>Keine Veränderung im SGI - Muskelfunktion</b>			
		<b>Cipaglucosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>07_1</b>			
Non-Responder	N	34	16
	Patienten mit Ereignis, n (%)	20 (59)	6 (38)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,51 [0,761; 2,992] p = 0,2390	
LOCF	N	34	16
	Patienten mit Ereignis, n (%)	20 (59)	6 (38)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,51 [0,761; 2,992] p = 0,2390	
<b>07_2</b>			
Non-Responder	N	31	14
	Patienten mit Ereignis, n (%)	15 (48)	8 (57)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,86 [0,477; 1,540] p = 0,6062	
LOCF	N	31	14
	Patienten mit Ereignis, n (%)	18 (58)	8 (57)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,03 [0,598; 1,777] p = 0,9136	
<b>08_1</b>			
Non-Responder	N	35	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	19 (54)	9 (60)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,93 [0,561; 1,534] p = 0,7692	
LOCF	N	35	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	20 (57)	9 (60)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,94 [0,574; 1,553] p = 0,8199	
<b>08_2</b>			

<b>Keine Veränderung im SGI - Muskelfunktion</b>			
		<b>Cipaglucosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
Non-Responder	N	30	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	16 (53)	5 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,72 [0,671; 4,410] p = 0,2589	
LOCF	N	30	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	18 (60)	5 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,97 [0,805; 4,839] p = 0,1375	
<b>05_1</b>			
Non-Responder	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	35 (54)	14 (47)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,13 [0,726; 1,773] p = 0,5785	
LOCF	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	38 (58)	14 (47)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,23 [0,802; 1,900] p = 0,3381	
<b>10_1</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_2</b>			
Non-Responder	N	47	24
	Patienten mit Ereignis, n (%)	27 (57)	13 (54)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,08 [0,685; 1,701] p = 0,7419	
LOCF	N	47	24
	Patienten mit Ereignis, n (%)	29 (62)	13 (54)

<b>Keine Veränderung im SGI - Muskelfunktion</b>			
		<b>Cipaglicosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,17 [0,765; 1,804] p = 0,4626	
<b>03_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>03_2</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>03_3</b>			
Non-Responder	N	18	12
	Patienten mit Ereignis, n (%)	12 (67)	4 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	2,15 [0,845; 5,491] p = 0,1081	
LOCF	N	18	12
	Patienten mit Ereignis, n (%)	13 (72)	4 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	2,38 [0,980; 5,804] p = 0,0555	
<b>01_1</b>			
Non-Responder	N	28	14
	Patienten mit Ereignis, n (%)	15 (54)	8 (57)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,94 [0,534; 1,658] p = 0,8321	
LOCF	N	28	14
	Patienten mit Ereignis, n (%)	17 (61)	8 (57)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,04 [0,615; 1,751] p = 0,8900	
<b>01_2</b>			
Non-Responder	N	37	16

<b>Keine Veränderung im SGI - Muskelfunktion</b>			
		<b>Cipaglicosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
	Patienten mit Ereignis, n (%)	20 (54)	6 (38)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,45 [0,716; 2,947] p = 0,3008	
LOCF	N	37	16
	Patienten mit Ereignis, n (%)	21 (57)	6 (38)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,51 [0,747; 3,054] p = 0,2513	
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

**35.7.1.10.21.2. Verbesserung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen****35.7.1.10.21.2. Verbesserung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen: Analyse**

PROPEL ERT experienced	Behandlungsarm		Cipaglucosidase alfa/Miglustat vs. Alglucosidase alfa/Placebo		
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
N	65	30	RR	OR	ARR
<b>Verbesserung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen</b>					
Non-Responder	17 (26%)	6 (20%)	1,26 [0,531; 2,989]	1,34 [0,464; 3,874]	0,05 [-0,129; 0,231]
LOCF	17 (26%)	6 (20%)	0,6009	0,5886	0,5768
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

**35.7.1.10.21.2. Verbesserung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen: Interaktionstest**

<b>Verbesserung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	
Non-Responder	0,3915
LOCF	0,3915
02	
Non-Responder	0,4636
LOCF	0,4636
03	
Non-Responder	0,0323
LOCF	0,0323
04	
Non-Responder	0,1616
LOCF	0,1616
05	
Non-Responder	NA
LOCF	NA
06	
Non-Responder	0,2801
LOCF	0,2801
07	
Non-Responder	0,8509
LOCF	0,8509
08	
Non-Responder	0,1871
LOCF	0,1871
09	



<b>Verbesserung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
Non-Responder	0,7201
LOCF	0,7201
10	
Non-Responder	0,7720
LOCF	0,7720
<i>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

**35.7.1.10.21.2. Verbesserung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen: Subgruppenanalyse**

<b>Verbesserung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Algluco- sidade alfa/Placebo</b>
<b>07_1</b>			
Non-Responder		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>07_2</b>			
Non-Responder		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>08_1</b>			
Non-Responder	N	35	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	11 (31)	2 (13)
	RR [95 %-KI] p-Wert	2,13 [0,505; 8,996] p = 0,3034	
LOCF	N	35	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	11 (31)	2 (13)
	RR [95 %-KI] p-Wert	2,13 [0,505; 8,996] p = 0,3034	
<b>08_2</b>			
Non-Responder		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>05_1</b>			
Non-Responder	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	17 (26)	6 (20)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,26 [0,531; 2,989] p = 0,6009	
LOCF	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	17 (26)	6 (20)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,26 [0,531; 2,989] p = 0,6009	

<b>Verbesserung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>10_1</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_2</b>			
Non-Responder	N	47	24
	Patienten mit Ereignis, n (%)	12 (26)	5 (21)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,20 [0,472; 3,036] p = 0,7045	
LOCF	N	47	24
	Patienten mit Ereignis, n (%)	12 (26)	5 (21)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,20 [0,472; 3,036] p = 0,7045	
<b>03_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>03_2</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>03_3</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>01_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>01_2</b>			
Non-Responder	N	37	16

<b>Verbesserung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen</b>			
		<b>Cipaglicosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
	Patienten mit Ereignis, n (%)	12 (32)	5 (31)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,91 [0,334; 2,496] p = 0,8595	
LOCF	N	37	16
	Patienten mit Ereignis, n (%)	12 (32)	5 (31)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,91 [0,334; 2,496] p = 0,8595	
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

**35.7.1.10.22.2. Verschlechterung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen****35.7.1.10.22.2. Verschlechterung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen: Analyse**

PROPEL ERT experienced	Behandlungsarm		Cipagluco­sidase alfa/Miglustat vs. Alglu­co­sidase alfa/Placebo		
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Alglu­co­sidase alfa/Placebo	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
N	65	30	RR	OR	ARR
<b>Verschlechterung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen</b>					
Non-Responder	10 (15%)	13 (43%)	0,36 [0,179; 0,726] 0,0043	0,24 [0,087; 0,649] 0,0050	-0,28 [-0,475; -0,078] 0,0063
LOCF	8 (12%)	13 (43%)	0,28 [0,133; 0,609] 0,0012	0,17 [0,058; 0,511] 0,0015	-0,31 [-0,503; -0,116] 0,0017
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

**35.7.1.10.22.2. Verschlechterung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen: Interaktionstest**

<b>Verschlechterung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	
Non-Responder	0,9904
LOCF	0,5268
02	
Non-Responder	0,3279
LOCF	0,4131
03	
Non-Responder	0,3639
LOCF	0,0240
04	
Non-Responder	0,3114
LOCF	0,3115
05	
Non-Responder	NA
LOCF	NA
06	
Non-Responder	0,9506
LOCF	0,0892
07	
Non-Responder	0,5704
LOCF	0,9218
08	
Non-Responder	0,5918
LOCF	0,5348
09	

<b>Verschlechterung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
Non-Responder	0,2228
LOCF	0,3752
10	
Non-Responder	0,5685
LOCF	0,8821
<i>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

**35.7.1.10.22.2. Verschlechterung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen:  
Subgruppenanalyse**

<b>Verschlechterung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen</b>			
		<b>Cipaglusidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>07_1</b>			
Non-Responder		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>07_2</b>			
Non-Responder		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>08_1</b>			
Non-Responder		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>08_2</b>			
Non-Responder		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>05_1</b>			
Non-Responder	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	10 (15)	13 (43)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,36 [0,179; 0,726] p = 0,0043	
LOCF	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	8 (12)	13 (43)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,28 [0,133; 0,609] p = 0,0012	
<b>10_1</b>			
Non-Responder		Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten	
LOCF		Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten	
<b>10_2</b>			



<b>Verschlechterung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen</b>		
	<b>Cipaglucosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>03_1</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>03_2</b>		
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten	
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten	
<b>03_3</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>01_1</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>01_2</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>		

**35.7.1.10.23.2. Keine Veränderung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen****35.7.1.10.23.2. Keine Veränderung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen: Analyse**

PROPEL ERT experienced	Behandlungsarm		Cipagluco­sidase alfa/Miglustat vs. Alglucosidase alfa/Placebo		
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
N	65	30	RR	OR	ARR
<b>Keine Veränderung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen</b>					
Non-Responder	38 (58%)	11 (37%)	1,61 [0,970; 2,671] 0,0656	2,51 [1,019; 6,181] 0,0454	0,23 [0,014; 0,437] 0,0365
LOCF	40 (62%)	11 (37%)	1,70 [1,031; 2,798] 0,0374	2,92 [1,170; 7,285] 0,0216	0,26 [0,049; 0,467] 0,0154
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

**35.7.1.10.23.2. Keine Veränderung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen: Interaktionstest**

<b>Keine Veränderung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	
Non-Responder	0,7703
LOCF	0,9377
02	
Non-Responder	0,4936
LOCF	0,4748
03	
Non-Responder	0,0287
LOCF	0,0189
04	
Non-Responder	0,1131
LOCF	0,0818
05	
Non-Responder	NA
LOCF	NA
06	
Non-Responder	0,7124
LOCF	0,7182
07	
Non-Responder	0,5000
LOCF	0,6375
08	
Non-Responder	0,2194
LOCF	0,2027
09	

<b>Keine Veränderung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
Non-Responder	0,5643
LOCF	0,6374
10	
Non-Responder	0,2430
LOCF	0,2754
<i>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

### 35.7.1.10.23.2. Keine Veränderung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen: Subgruppenanalyse

<b>Keine Veränderung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen</b>			
		<b>Cipaglusosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>07_1</b>			
Non-Responder	N	34	16
	Patienten mit Ereignis, n (%)	20 (59)	5 (31)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,89 [0,877; 4,089] p = 0,1040	
LOCF	N	34	16
	Patienten mit Ereignis, n (%)	20 (59)	5 (31)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,89 [0,877; 4,089] p = 0,1040	
<b>07_2</b>			
Non-Responder	N	31	14
	Patienten mit Ereignis, n (%)	18 (58)	6 (43)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,38 [0,706; 2,692] p = 0,3473	
LOCF	N	31	14
	Patienten mit Ereignis, n (%)	20 (65)	6 (43)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,54 [0,804; 2,951] p = 0,1926	
<b>08_1</b>			
Non-Responder	N	35	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	20 (57)	7 (47)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,32 [0,706; 2,472] p = 0,3842	
LOCF	N	35	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	21 (60)	7 (47)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,34 [0,714; 2,525] p = 0,3603	

<b>Keine Veränderung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen</b>			
		<b>Cipaglicosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>08_2</b>			
Non-Responder	N	30	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	18 (60)	4 (27)
	RR [95 %-KI] p-Wert	2,94 [1,199; 7,222] p = 0,0185	
LOCF	N	30	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	19 (63)	4 (27)
	RR [95 %-KI] p-Wert	3,16 [1,329; 7,539] p = 0,0093	
<b>05_1</b>			
Non-Responder	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	38 (58)	11 (37)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,61 [0,970; 2,671] p = 0,0656	
LOCF	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	40 (62)	11 (37)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,70 [1,031; 2,798] p = 0,0374	
<b>10_1</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_2</b>			
Non-Responder	N	47	24
	Patienten mit Ereignis, n (%)	28 (60)	10 (42)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,46 [0,859; 2,473] p = 0,1626	
LOCF	N	47	24

<b>Keine Veränderung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidade alfa/Placebo</b>
	Patienten mit Ereignis, n (%)	30 (64)	10 (42)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,58 [0,947; 2,637] p = 0,0800	
<b>03_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>03_2</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>03_3</b>			
	N	18	12
Non-Responder	Patienten mit Ereignis, n (%)	14 (78)	2 (17)
	RR [95 %-KI] p-Wert	5,33 [1,235; 23,038] p = 0,0249	
	N	18	12
LOCF	Patienten mit Ereignis, n (%)	15 (83)	2 (17)
	RR [95 %-KI] p-Wert	5,83 [1,399; 24,331] p = 0,0155	
<b>01_1</b>			
	N	28	14
Non-Responder	Patienten mit Ereignis, n (%)	18 (64)	6 (43)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,50 [0,783; 2,892] p = 0,2200	
	N	28	14
LOCF	Patienten mit Ereignis, n (%)	20 (71)	6 (43)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,64 [0,863; 3,107] p = 0,1313	
<b>01_2</b>			

<b>Keine Veränderung im SGI - Fähigkeit, sich zu bewegen</b>			
		<b>Cipagluco- sidadase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
Non-Responder	N	37	16
	Patienten mit Ereignis, n (%)	20 (54)	5 (31)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,95 [0,895; 4,228] p = 0,0930	
LOCF	N	37	16
	Patienten mit Ereignis, n (%)	20 (54)	5 (31)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,95 [0,895; 4,228] p = 0,0930	
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			



**35.7.1.10.24.2. Verbesserung im SGI -Aktivitäten des täglichen Lebens****35.7.1.10.24.2. Verbesserung im SGI -Aktivitäten des täglichen Lebens: Analyse**

PROPEL ERT experienced	Behandlungsarm		Cipaglucosidase alfa/Miglustat vs. Alglucosidase alfa/Placebo Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	RR	OR	ARR
N	65	30			
<b>Verbesserung im SGI -Aktivitäten des täglichen Lebens</b>					
Non-Responder	17 (26%)	6 (20%)	1,45 [0,622; 3,366]	1,65 [0,545; 4,976]	0,08 [-0,090; 0,257]
LOCF	17 (26%)	6 (20%)	0,3912	0,3769	0,3460
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

**35.7.1.10.24.2. Verbesserung im SGI -Aktivitäten des täglichen Lebens: Interaktionstest**

<b>Verbesserung im SGI -Aktivitäten des täglichen Lebens: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	
Non-Responder	0,5878
LOCF	0,5878
02	
Non-Responder	0,6077
LOCF	0,6077
03	
Non-Responder	0,2773
LOCF	0,2773
04	
Non-Responder	0,0446
LOCF	0,0446
05	
Non-Responder	NA
LOCF	NA
06	
Non-Responder	0,6829
LOCF	0,6829
07	
Non-Responder	0,5396
LOCF	0,5396
08	
Non-Responder	0,3011
LOCF	0,3011
09	

<b>Verbesserung im SGI -Aktivitäten des täglichen Lebens: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
Non-Responder	0,4814
LOCF	0,4814
10	
Non-Responder	0,4131
LOCF	0,4131
<i>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

**35.7.1.10.24.2. Verbesserung im SGI -Aktivitäten des täglichen Lebens: Subgruppenanalyse**

<b>Verbesserung im SGI -Aktivitäten des täglichen Lebens</b>			
		<b>Cipaglusidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>07_1</b>			
Non-Responder		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>07_2</b>			
Non-Responder		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>08_1</b>			
Non-Responder	N	35	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	10 (29)	2 (13)
	RR [95 %-KI] p-Wert	2,00 [0,447; 8,955] p = 0,3648	
LOCF	N	35	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	10 (29)	2 (13)
	RR [95 %-KI] p-Wert	2,00 [0,447; 8,955] p = 0,3648	
<b>08_2</b>			
Non-Responder		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>05_1</b>			
Non-Responder	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	17 (26)	6 (20)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,45 [0,622; 3,366] p = 0,3912	
LOCF	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	17 (26)	6 (20)

<b>Verbesserung im SGI -Aktivitäten des täglichen Lebens</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
		RR [95 %-KI] p-Wert	1,45 [0,622; 3,366] p = 0,3912
<b>10_1</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_2</b>			
Non-Responder	N	47	24
	Patienten mit Ereignis, n (%)	10 (21)	5 (21)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,00 [0,380; 2,634] p = 1,0000	
LOCF	N	47	24
	Patienten mit Ereignis, n (%)	10 (21)	5 (21)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,00 [0,380; 2,634] p = 1,0000	
<b>03_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>03_2</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>03_3</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>01_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>01_2</b>			
Non-Responder	N	37	16

<b>Verbesserung im SGI -Aktivitäten des täglichen Lebens</b>			
		<b>Cipaglicosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
	Patienten mit Ereignis, n (%)	13 (35)	5 (31)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,18 [0,496; 2,827] p = 0,7031	
LOCF	N	37	16
	Patienten mit Ereignis, n (%)	13 (35)	5 (31)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,18 [0,496; 2,827] p = 0,7031	
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

**35.7.1.10.25.2. Verschlechterung im SGI - Aktivitäten des täglichen Lebens****35.7.1.10.25.2. Verschlechterung im SGI - Aktivitäten des täglichen Lebens: Analyse**

PROPEL ERT experienced	Behandlungsarm		Cipagluco­sidase alfa/Miglustat vs. Alglucosidase alfa/Placebo Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	RR	OR	ARR
N	65	30			
<b>Verschlechterung im SGI - Aktivitäten des täglichen Lebens</b>					
Non-Responder	8 (12%)	6 (20%)	0,68 [0,257; 1,807] 0,4404	0,63 [0,196; 2,038] 0,4423	-0,06 [-0,225; 0,103] 0,4654
LOCF	5 (8%)	5 (17%)	0,55 [0,175; 1,727] 0,3061	0,49 [0,128; 1,910] 0,3068	-0,07 [-0,216; 0,075] 0,3448
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

**35.7.1.10.25.2. Verschlechterung im SGI - Aktivitäten des täglichen Lebens: Interaktionstest**

<b>Verschlechterung im SGI - Aktivitäten des täglichen Lebens: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	
Non-Responder	0,7586
LOCF	0,9243
02	
Non-Responder	0,8480
LOCF	0,9158
03	
Non-Responder	0,4474
LOCF	0,2468
04	
Non-Responder	0,0358
LOCF	0,0001
05	
Non-Responder	NA
LOCF	NA
06	
Non-Responder	0,0869
LOCF	0,1483
07	
Non-Responder	0,1721
LOCF	0,4911
08	
Non-Responder	0,1922
LOCF	0,1386
09	



<b>Verschlechterung im SGI - Aktivitäten des täglichen Lebens: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
Non-Responder	0,4834
LOCF	0,4153
10	
Non-Responder	0,3631
LOCF	0,7327
<i>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

### 35.7.1.10.25.2. Verschlechterung im SGI - Aktivitäten des täglichen Lebens: Subgruppenanalyse

Verschlechterung im SGI - Aktivitäten des täglichen Lebens		
	Cipaglicosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo
<b>05_1</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	

**35.7.1.10.26.2. Keine Veränderung im SGI - Aktivitäten des täglichen Lebens****35.7.1.10.26.2. Keine Veränderung im SGI - Aktivitäten des täglichen Lebens: Analyse**

PROPEL ERT experienced	Behandlungsarm		Cipaglucosidase alfa/Miglustat vs. Alglucosidase alfa/Placebo Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	RR	OR	ARR
N	65	30			
<b>Keine Veränderung im SGI - Aktivitäten des täglichen Lebens</b>					
Non-Responder	40 (62%)	18 (60%)	0,96 [0,696; 1,335] 0,8259	0,90 [0,351; 2,318] 0,8294	-0,02 [-0,224; 0,179] 0,8284
LOCF	43 (66%)	19 (63%)	0,98 [0,730; 1,315] 0,8924	0,94 [0,351; 2,493] 0,8945	-0,01 [-0,207; 0,181] 0,8939
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

**35.7.1.10.26.2. Keine Veränderung im SGI - Aktivitäten des täglichen Lebens: Interaktionstest**

<b>Keine Veränderung im SGI - Aktivitäten des täglichen Lebens: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	
Non-Responder	0,5736
LOCF	0,4534
02	
Non-Responder	0,6847
LOCF	0,7139
03	
Non-Responder	0,2005
LOCF	0,3273
04	
Non-Responder	0,0928
LOCF	0,0929
05	
Non-Responder	NA
LOCF	NA
06	
Non-Responder	0,1135
LOCF	0,1023
07	
Non-Responder	0,1045
LOCF	0,2231
08	
Non-Responder	0,8979
LOCF	0,7842
09	

<b>Keine Veränderung im SGI - Aktivitäten des täglichen Lebens: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
Non-Responder	0,1364
LOCF	0,1075
10	
Non-Responder	0,6151
LOCF	0,8537
<i>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

### 35.7.1.10.26.2. Keine Veränderung im SGI - Aktivitäten des täglichen Lebens: Subgruppenanalyse

<b>Keine Veränderung im SGI - Aktivitäten des täglichen Lebens</b>			
		<b>Cipaglusidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>07_1</b>			
Non-Responder	N	34	16
	Patienten mit Ereignis, n (%)	21 (62)	7 (44)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,24 [0,719; 2,149] p = 0,4366	
LOCF	N	34	16
	Patienten mit Ereignis, n (%)	22 (65)	8 (50)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,14 [0,708; 1,826] p = 0,5939	
<b>07_2</b>			
Non-Responder	N	31	14
	Patienten mit Ereignis, n (%)	19 (61)	11 (79)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,78 [0,527; 1,153] p = 0,2125	
LOCF	N	31	14
	Patienten mit Ereignis, n (%)	21 (68)	11 (79)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,86 [0,596; 1,241] p = 0,4212	
<b>08_1</b>			
Non-Responder	N	35	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	22 (63)	9 (60)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,08 [0,695; 1,668] p = 0,7412	
LOCF	N	35	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	23 (66)	9 (60)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,09 [0,708; 1,686] p = 0,6882	

<b>Keine Veränderung im SGI - Aktivitäten des täglichen Lebens</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>08_2</b>			
Non-Responder	N	30	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	18 (60)	9 (60)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,99 [0,622; 1,561] p = 0,9495	
LOCF	N	30	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	20 (67)	10 (67)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,92 [0,633; 1,351] p = 0,6845	
<b>05_1</b>			
Non-Responder	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	40 (62)	18 (60)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,96 [0,696; 1,335] p = 0,8259	
LOCF	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	43 (66)	19 (63)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,98 [0,730; 1,315] p = 0,8924	
<b>10_1</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_2</b>			
Non-Responder	N	47	24
	Patienten mit Ereignis, n (%)	32 (68)	16 (67)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,03 [0,743; 1,421] p = 0,8695	
LOCF	N	47	24

<b>Keine Veränderung im SGI - Aktivitäten des täglichen Lebens</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
	Patienten mit Ereignis, n (%)	34 (72)	16 (67)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,10 [0,803; 1,494] p = 0,5654	
<b>03_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>03_2</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>03_3</b>			
	N	18	12
Non-Responder	Patienten mit Ereignis, n (%)	15 (83)	6 (50)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,70 [0,875; 3,302] p = 0,1172	
	N	18	12
LOCF	Patienten mit Ereignis, n (%)	16 (89)	7 (58)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,54 [0,947; 2,511] p = 0,0820	
	N	28	14
Non-Responder	Patienten mit Ereignis, n (%)	21 (75)	11 (79)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,98 [0,708; 1,344] p = 0,8790	
	N	28	14
LOCF	Patienten mit Ereignis, n (%)	23 (82)	12 (86)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,98 [0,767; 1,242] p = 0,8415	
	N	28	14
<b>01_2</b>			



<b>Keine Veränderung im SGI - Aktivitäten des täglichen Lebens</b>			
		<b>Cipagluco­sidase alfa/Miglustat</b>	<b>Algluco­sidase alfa/Placebo</b>
Non-Responder	N	37	16
	Patienten mit Ereignis, n (%)	19 (51)	7 (44)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,14 [0,622; 2,076] p = 0,6765	
LOCF	N	37	16
	Patienten mit Ereignis, n (%)	20 (54)	7 (44)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,19 [0,650; 2,163] p = 0,5781	
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

**35.7.1.10.27.2. Verbesserung im SGI - Energielevel****35.7.1.10.27.2. Verbesserung im SGI - Energielevel: Analyse**

PROPEL ERT experienced	Behandlungsarm		Cipaglucosidase alfa/Miglustat vs. Alglucosidase alfa/Placebo		
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
N	65	30	RR	OR	ARR
<b>Verbesserung im SGI - Energielevel</b>					
Non-Responder	23 (35%)	7 (23%)	1,57 [0,725; 3,395]	1,85 [0,681; 5,046]	0,13 [-0,065; 0,318]
LOCF	23 (35%)	7 (23%)	0,2529	0,2274	0,1964
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

**35.7.1.10.27.2. Verbesserung im SGI - Energielevel: Interaktionstest**

<b>Verbesserung im SGI - Energielevel: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	
Non-Responder	0,0885
LOCF	0,0885
02	
Non-Responder	0,3316
LOCF	0,3316
03	
Non-Responder	0,1217
LOCF	0,1217
04	
Non-Responder	0,2619
LOCF	0,2619
05	
Non-Responder	NA
LOCF	NA
06	
Non-Responder	0,4462
LOCF	0,4462
07	
Non-Responder	0,8280
LOCF	0,8280
08	
Non-Responder	0,4339
LOCF	0,4339
09	

<b>Verbesserung im SGI - Energielevel: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
Non-Responder	0,8847
LOCF	0,8847
10	
Non-Responder	0,4274
LOCF	0,4274
<i>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

**35.7.1.10.27.2. Verbesserung im SGI - Energielevel: Subgruppenanalyse**

<b>Verbesserung im SGI - Energielevel</b>			
		<b>Cipaglusosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>07_1</b>			
Non-Responder	N	34	16
	Patienten mit Ereignis, n (%)	12 (35)	4 (25)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,50 [0,515; 4,366] p = 0,4570	
LOCF	N	34	16
	Patienten mit Ereignis, n (%)	12 (35)	4 (25)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,50 [0,515; 4,366] p = 0,4570	
<b>07_2</b>			
Non-Responder	N	31	14
	Patienten mit Ereignis, n (%)	11 (35)	3 (21)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,65 [0,540; 5,034] p = 0,3800	
LOCF	N	31	14
	Patienten mit Ereignis, n (%)	11 (35)	3 (21)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,65 [0,540; 5,034] p = 0,3800	
<b>08_1</b>			
Non-Responder	N	35	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	14 (40)	3 (20)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,90 [0,585; 6,191] p = 0,2850	
LOCF	N	35	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	14 (40)	3 (20)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,90 [0,585; 6,191] p = 0,2850	
<b>08_2</b>			

<b>Verbesserung im SGI - Energielevel</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>05_1</b>			
Non-Responder	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	23 (35)	7 (23)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,57 [0,725; 3,395] p = 0,2529	
LOCF	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	23 (35)	7 (23)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,57 [0,725; 3,395] p = 0,2529	
<b>10_1</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_2</b>			
Non-Responder	N	47	24
	Patienten mit Ereignis, n (%)	15 (32)	6 (25)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,26 [0,553; 2,872] p = 0,5826	
LOCF	N	47	24
	Patienten mit Ereignis, n (%)	15 (32)	6 (25)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,26 [0,553; 2,872] p = 0,5826	
<b>03_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>03_2</b>			

<b>Verbesserung im SGI - Energielevel</b>			
		<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>03_3</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>01_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>01_2</b>			
Non-Responder	N	37	16
	Patienten mit Ereignis, n (%)	14 (38)	6 (38)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,99 [0,408; 2,388] p = 0,9760	
LOCF	N	37	16
	Patienten mit Ereignis, n (%)	14 (38)	6 (38)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,99 [0,408; 2,388] p = 0,9760	
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

**35.7.1.10.28.2. Verschlechterung im SGI - Energielevel****35.7.1.10.28.2. Verschlechterung im SGI - Energielevel: Analyse**

PROPEL ERT experienced	Behandlungsarm		Cipagluco­sidase alfa/Miglustat vs. Alglu­co­sidase alfa/Placebo		
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Alglu­co­sidase alfa/Placebo	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
N	65	30	RR	OR	ARR
<b>Verschlechterung im SGI - Energielevel</b>					
Non-Responder	9 (14%)	8 (27%)	0,47 [0,207; 1,069] 0,0719	0,39 [0,132; 1,127] 0,0816	-0,15 [-0,331; 0,031] 0,1034
LOCF	6 (9%)	8 (27%)	0,31 [0,122; 0,763] 0,0112	0,21 [0,064; 0,718] 0,0126	-0,20 [-0,368; -0,027] 0,0233
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					



**35.7.1.10.28.2. Verschlechterung im SGI - Energielevel: Interaktionstest**

<b>Verschlechterung im SGI - Energielevel: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	
Non-Responder	0,6829
LOCF	0,6001
02	
Non-Responder	0,6311
LOCF	0,4389
03	
Non-Responder	0,6835
LOCF	0,4470
04	
Non-Responder	0,2817
LOCF	0,2706
05	
Non-Responder	NA
LOCF	NA
06	
Non-Responder	0,0245
LOCF	0,2356
07	
Non-Responder	0,1763
LOCF	0,3243
08	
Non-Responder	0,6756
LOCF	0,8798
09	

<b>Verschlechterung im SGI - Energielevel: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
Non-Responder	0,7806
LOCF	0,2413
10	
Non-Responder	0,9832
LOCF	0,5326
<i>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

**35.7.1.10.28.2. Verschlechterung im SGI - Energielevel: Subgruppenanalyse**

<b>Verschlechterung im SGI - Energielevel</b>		
	<b>Cipaglicosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>07_1</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>07_2</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>05_1</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>10_1</b>		
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten	
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten	
<b>10_2</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	

**35.7.1.10.29.2. Keine Veränderung im SGI - Energielevel****35.7.1.10.29.2. Keine Veränderung im SGI - Energielevel: Analyse**

PROPEL ERT experienced	Behandlungsarm		Cipaglucosidase alfa/Miglustat vs. Alglucosidase alfa/Placebo Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	RR	OR	ARR
N	65	30			
<b>Keine Veränderung im SGI - Energielevel</b>					
Non-Responder	33 (51%)	15 (50%)	1,05 [0,679; 1,618] 0,8306	1,10 [0,459; 2,642] 0,8293	0,02 [-0,194; 0,241] 0,8291
LOCF	36 (55%)	15 (50%)	1,14 [0,754; 1,735] 0,5273	1,34 [0,551; 3,279] 0,5157	0,07 [-0,142; 0,284] 0,5144
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

**35.7.1.10.29.2. Keine Veränderung im SGI - Energielevel: Interaktionstest**

<b>Keine Veränderung im SGI - Energielevel: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	
Non-Responder	0,2107
LOCF	0,3892
02	
Non-Responder	0,5727
LOCF	0,4686
03	
Non-Responder	0,2782
LOCF	0,1845
04	
Non-Responder	0,5226
LOCF	0,5690
05	
Non-Responder	NA
LOCF	NA
06	
Non-Responder	0,2536
LOCF	0,3827
07	
Non-Responder	0,1630
LOCF	0,1952
08	
Non-Responder	0,6123
LOCF	0,5011
09	

<b>Keine Veränderung im SGI - Energielevel: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
Non-Responder	0,9340
LOCF	0,8726
10	
Non-Responder	0,5323
LOCF	0,3988
<i>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

**35.7.1.10.29.2. Keine Veränderung im SGI - Energielevel: Subgruppenanalyse**

<b>Keine Veränderung im SGI - Energielevel</b>			
		<b>Cipaglusidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>07_1</b>			
Non-Responder	N	34	16
	Patienten mit Ereignis, n (%)	18 (53)	6 (38)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,50 [0,736; 3,059] p = 0,2647	
LOCF	N	34	16
	Patienten mit Ereignis, n (%)	19 (56)	6 (38)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,57 [0,775; 3,196] p = 0,2093	
<b>07_2</b>			
Non-Responder	N	31	14
	Patienten mit Ereignis, n (%)	15 (48)	9 (64)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,76 [0,445; 1,310] p = 0,3272	
LOCF	N	31	14
	Patienten mit Ereignis, n (%)	17 (55)	9 (64)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,87 [0,532; 1,433] p = 0,5905	
<b>08_1</b>			
Non-Responder	N	35	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	17 (49)	8 (53)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,96 [0,543; 1,690] p = 0,8822	
LOCF	N	35	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	18 (51)	8 (53)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,98 [0,557; 1,711] p = 0,9334	
<b>08_2</b>			

<b>Keine Veränderung im SGI - Energielevel</b>			
		<b>Cipaglusidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
Non-Responder	N	30	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	16 (53)	7 (47)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,51 [0,742; 3,060] p = 0,2561	
LOCF	N	30	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	18 (60)	7 (47)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,70 [0,865; 3,335] p = 0,1239	
<b>05_1</b>			
Non-Responder	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	33 (51)	15 (50)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,05 [0,679; 1,618] p = 0,8306	
LOCF	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	36 (55)	15 (50)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,14 [0,754; 1,735] p = 0,5273	
<b>10_1</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_2</b>			
Non-Responder	N	47	24
	Patienten mit Ereignis, n (%)	26 (55)	12 (50)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,13 [0,686; 1,851] p = 0,6373	
LOCF	N	47	24
	Patienten mit Ereignis, n (%)	29 (62)	12 (50)



<b>Keine Veränderung im SGI - Energielevel</b>			
		<b>Cipaglicosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,27 [0,797; 2,026] p = 0,3137	
<b>03_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>03_2</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>03_3</b>			
Non-Responder	N	18	12
	Patienten mit Ereignis, n (%)	10 (56)	4 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	2,00 [0,736; 5,438] p = 0,1744	
LOCF	N	18	12
	Patienten mit Ereignis, n (%)	11 (61)	4 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	2,25 [0,902; 5,614] p = 0,0821	
<b>01_1</b>			
Non-Responder	N	28	14
	Patienten mit Ereignis, n (%)	14 (50)	9 (64)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,82 [0,478; 1,397] p = 0,4612	
LOCF	N	28	14
	Patienten mit Ereignis, n (%)	17 (61)	9 (64)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,97 [0,595; 1,569] p = 0,8908	
<b>01_2</b>			
Non-Responder	N	37	16

<b>Keine Veränderung im SGI - Energielevel</b>			
		<b>Cipaglicosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
	Patienten mit Ereignis, n (%)	19 (51)	6 (38)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,59 [0,801; 3,138] p = 0,1857	
LOCF	N	37	16
	Patienten mit Ereignis, n (%)	19 (51)	6 (38)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,59 [0,801; 3,138] p = 0,1857	
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

**35.7.1.10.30.2. Verbesserung im SGI -Muskelschmerzen****35.7.1.10.30.2. Verbesserung im SGI -Muskelschmerzen: Analyse**

PROPEL ERT experienced	Behandlungsarm		Cipagluco­sidase alfa/Miglustat vs. Alglucosidase alfa/Placebo		
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
N	65	30	RR	OR	ARR
<b>Verbesserung im SGI -Muskelschmerzen</b>					
Non-Responder	8 (12%)	5 (17%)	0,71 [0,233; 2,157]	0,68 [0,199; 2,322]	-0,05 [-0,203; 0,109]
LOCF	8 (12%)	5 (17%)	0,5448	0,5371	0,5546
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

**35.7.1.10.30.2. Verbesserung im SGI -Muskelschmerzen: Interaktionstest**

<b>Verbesserung im SGI -Muskelschmerzen: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	
Non-Responder	0,4033
LOCF	0,4033
02	
Non-Responder	0,7330
LOCF	0,7330
03	
Non-Responder	0,0963
LOCF	0,0963
04	
Non-Responder	0,0146
LOCF	0,0146
05	
Non-Responder	NA
LOCF	NA
06	
Non-Responder	0,2231
LOCF	0,2231
07	
Non-Responder	0,6823
LOCF	0,6823
08	
Non-Responder	0,0507
LOCF	0,0507
09	

<b>Verbesserung im SGI -Muskelschmerzen: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
Non-Responder	0,9315
LOCF	0,9315
10	
Non-Responder	0,7182
LOCF	0,7182
<i>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

**35.7.1.10.30.2. Verbesserung im SGI -Muskelschmerzen: Subgruppenanalyse**

<b>Verbesserung im SGI -Muskelschmerzen</b>		
	<b>Cipaglucosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>08_1</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>08_2</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>05_1</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>10_1</b>		
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten	
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten	
<b>10_2</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>03_1</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>03_2</b>		
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten	
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten	
<b>03_3</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>01_1</b>		

<b>Verbesserung im SGI -Muskelschmerzen</b>		
	<b>Cipagluco- sidade alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidade alfa/Placebo</b>
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>01_2</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	

**35.7.1.10.31.2. Verschlechterung im SGI - Muskelschmerzen****35.7.1.10.31.2. Verschlechterung im SGI - Muskelschmerzen: Analyse**

PROPEL ERT experienced	Behandlungsarm		Cipaglucosidase alfa/Miglustat vs. Alglucosidase alfa/Placebo Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	RR	OR	ARR
N	65	30			
<b>Verschlechterung im SGI - Muskelschmerzen</b>					
Non-Responder	14 (22%)	10 (33%)	0,62 [0,303; 1,262] 0,1869	0,52 [0,199; 1,381] 0,1915	-0,13 [-0,325; 0,071] 0,2078
LOCF	12 (18%)	9 (30%)	0,59 [0,271; 1,285] 0,1838	0,50 [0,182; 1,388] 0,1848	-0,12 [-0,312; 0,067] 0,2061
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					



**35.7.1.10.31.2. Verschlechterung im SGI - Muskelschmerzen: Interaktionstest**

<b>Verschlechterung im SGI - Muskelschmerzen: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	
Non-Responder	0,9607
LOCF	0,8632
02	
Non-Responder	0,5454
LOCF	0,5381
03	
Non-Responder	0,3731
LOCF	0,5419
04	
Non-Responder	0,1970
LOCF	0,1460
05	
Non-Responder	NA
LOCF	NA
06	
Non-Responder	0,0051
LOCF	0,0165
07	
Non-Responder	0,3636
LOCF	0,9042
08	
Non-Responder	0,2501
LOCF	0,1443
09	

<b>Verschlechterung im SGI - Muskelschmerzen: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
Non-Responder	0,5753
LOCF	0,6047
10	
Non-Responder	0,8631
LOCF	0,5784
<i>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

**35.7.1.10.31.2. Verschlechterung im SGI - Muskelschmerzen: Subgruppenanalyse**

<b>Verschlechterung im SGI - Muskelschmerzen</b>			
		<b>Cipaglicosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>07_1</b>			
Non-Responder		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>07_2</b>			
Non-Responder		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>08_1</b>			
Non-Responder		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>08_2</b>			
Non-Responder		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>05_1</b>			
Non-Responder	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	14 (22)	10 (33)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,62 [0,303; 1,262] p = 0,1869	
LOCF	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	12 (18)	9 (30)
	RR [95 %-KI] p-Wert	0,59 [0,271; 1,285] p = 0,1838	
<b>10_1</b>			
Non-Responder		Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten	
LOCF		Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten	
<b>10_2</b>			
Non-Responder		Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	

<b>Verschlechterung im SGI - Muskelschmerzen</b>		
	<b>Cipaglicosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>03_1</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>03_2</b>		
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten	
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten	
<b>03_3</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>01_1</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<b>01_2</b>		
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen	
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>		

**35.7.1.10.32.2. Keine Veränderung im SGI - Muskelschmerzen****35.7.1.10.32.2. Keine Veränderung im SGI - Muskelschmerzen: Analyse**

PROPEL ERT experienced	Behandlungsarm		Cipaglucosidase alfa/Miglustat vs. Alglucosidase alfa/Placebo Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	RR	OR	ARR
N	65	30			
<b>Keine Veränderung im SGI - Muskelschmerzen</b>					
Non-Responder	43 (66%)	15 (50%)	1,35 [0,912; 1,985] 0,1349	2,07 [0,849; 5,059] 0,1096	0,17 [-0,039; 0,388] 0,1094
LOCF	45 (69%)	16 (53%)	1,31 [0,915; 1,884] 0,1388	2,08 [0,842; 5,127] 0,1126	0,17 [-0,042; 0,380] 0,1161
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

**35.7.1.10.32.2. Keine Veränderung im SGI - Muskelschmerzen: Interaktionstest**

<b>Keine Veränderung im SGI - Muskelschmerzen: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
01	
Non-Responder	0,3001
LOCF	0,1669
02	
Non-Responder	0,4846
LOCF	0,4412
03	
Non-Responder	0,2445
LOCF	0,4417
04	
Non-Responder	0,0788
LOCF	0,0631
05	
Non-Responder	NA
LOCF	NA
06	
Non-Responder	0,1162
LOCF	0,1334
07	
Non-Responder	0,3000
LOCF	0,6567
08	
Non-Responder	0,6994
LOCF	0,9538
09	

<b>Keine Veränderung im SGI - Muskelschmerzen: Interaktionstest der Subgruppen</b>	
<b>Subgruppe</b>	<b>Interaktionstest</b>
Non-Responder	0,9880
LOCF	0,9886
10	
Non-Responder	0,8283
LOCF	0,6392
<i>Bei Interaktionstests wurde die Interaktion zwischen Subgruppenmerkmal und Behandlung zum Modell hinzugefügt und der entsprechende p-Wert angegeben.</i>	

**35.7.1.10.32.2. Keine Veränderung im SGI - Muskelschmerzen: Subgruppenanalyse**

<b>Keine Veränderung im SGI - Muskelschmerzen</b>			
		<b>Cipaglucosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
<b>07_1</b>			
Non-Responder	N	34	16
	Patienten mit Ereignis, n (%)	21 (62)	6 (38)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,68 [0,866; 3,276] p = 0,1246	
LOCF	N	34	16
	Patienten mit Ereignis, n (%)	21 (62)	7 (44)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,43 [0,791; 2,595] p = 0,2354	
<b>07_2</b>			
Non-Responder	N	31	14
	Patienten mit Ereignis, n (%)	22 (71)	9 (64)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,12 [0,707; 1,768] p = 0,6327	
LOCF	N	31	14
	Patienten mit Ereignis, n (%)	24 (77)	9 (64)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,22 [0,782; 1,899] p = 0,3835	
<b>08_1</b>			
Non-Responder	N	35	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	23 (66)	8 (53)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,20 [0,704; 2,044] p = 0,5023	
LOCF	N	35	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	24 (69)	8 (53)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,22 [0,719; 2,065] p = 0,4636	
<b>08_2</b>			



<b>Keine Veränderung im SGI - Muskelschmerzen</b>			
		<b>Cipaglucosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
Non-Responder	N	30	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	20 (67)	7 (47)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,81 [0,905; 3,628] p = 0,0931	
LOCF	N	30	15
	Patienten mit Ereignis, n (%)	21 (70)	8 (53)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,52 [0,840; 2,758] p = 0,1658	
<b>05_1</b>			
Non-Responder	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	43 (66)	15 (50)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,35 [0,912; 1,985] p = 0,1349	
LOCF	N	65	30
	Patienten mit Ereignis, n (%)	45 (69)	16 (53)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,31 [0,915; 1,884] p = 0,1388	
<b>10_1</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>10_2</b>			
Non-Responder	N	47	24
	Patienten mit Ereignis, n (%)	34 (72)	13 (54)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,38 [0,916; 2,067] p = 0,1248	
LOCF	N	47	24
	Patienten mit Ereignis, n (%)	35 (74)	13 (54)

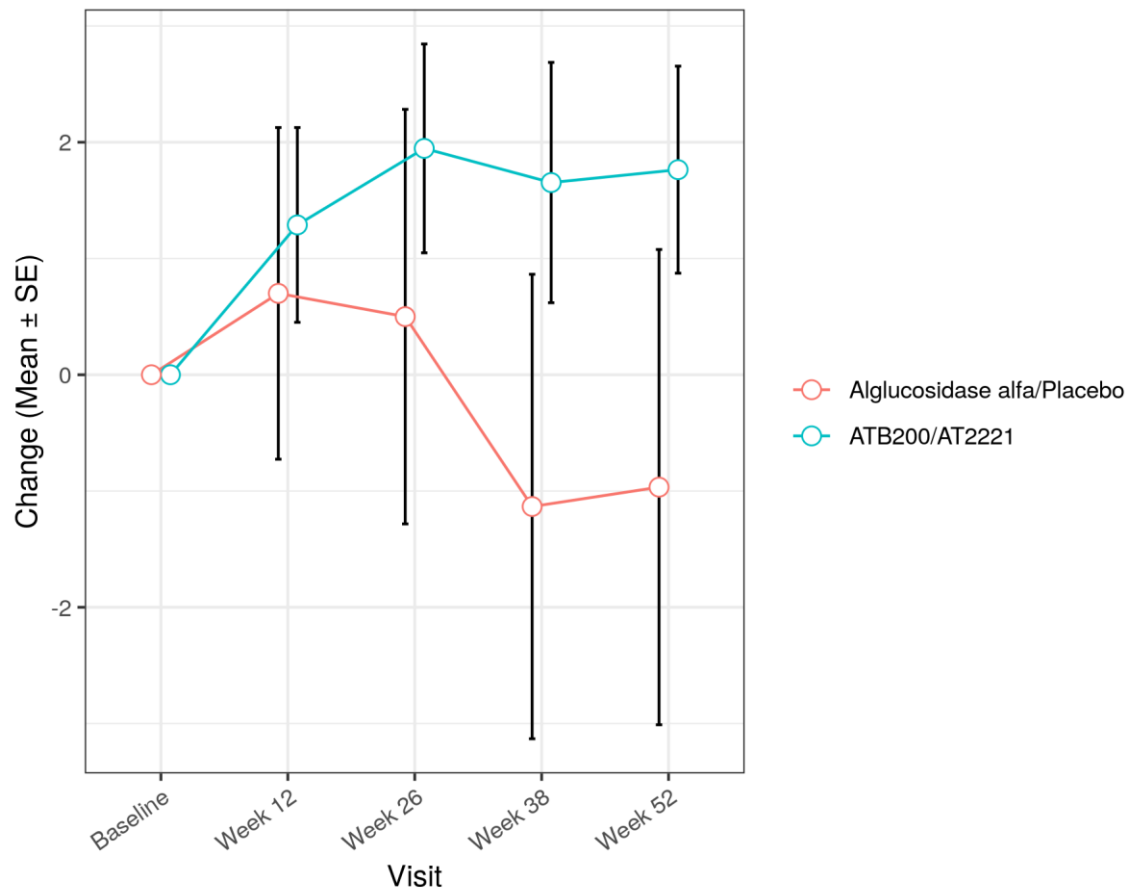
<b>Keine Veränderung im SGI - Muskelschmerzen</b>			
		<b>Cipaglicosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,42 [0,956; 2,118] p = 0,0818	
<b>03_1</b>			
Non-Responder	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
LOCF	Keine Subgruppe mit mindestens 10 Ereignissen		
<b>03_2</b>			
Non-Responder	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
LOCF	Mindestens eine Subgruppe mit weniger als 10 Patienten		
<b>03_3</b>			
Non-Responder	N	18	12
	Patienten mit Ereignis, n (%)	15 (83)	5 (42)
	RR [95 %-KI] p-Wert	2,19 [0,976; 4,904] p = 0,0574	
LOCF	N	18	12
	Patienten mit Ereignis, n (%)	16 (89)	6 (50)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,90 [1,031; 3,502] p = 0,0397	
<b>01_1</b>			
Non-Responder	N	28	14
	Patienten mit Ereignis, n (%)	20 (71)	9 (64)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,12 [0,716; 1,738] p = 0,6285	
LOCF	N	28	14
	Patienten mit Ereignis, n (%)	21 (75)	10 (71)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,05 [0,717; 1,532] p = 0,8078	
<b>01_2</b>			
Non-Responder	N	37	16

<b>Keine Veränderung im SGI - Muskelschmerzen</b>			
		<b>Cipaglicosidase alfa/Miglustat</b>	<b>Alglucosidase alfa/Placebo</b>
	Patienten mit Ereignis, n (%)	23 (62)	6 (38)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,77 [0,923; 3,399] p = 0,0855	
LOCF	N	37	16
	Patienten mit Ereignis, n (%)	24 (65)	6 (38)
	RR [95 %-KI] p-Wert	1,83 [0,954; 3,503] p = 0,0692	
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

**Patient-Reported Outcomes Measurement Information System (PROMIS)****35.7.1.05****35.7.1.05.01.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Körperliche Funktion (20a)****35.7.1.05.01.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Körperliche Funktion (20a): Analyse**

PROPEL ERT experienced	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	65	30	-
<b>Veränderung des PROMIS-Wertes Körperliche Funktion (20a)</b>			
<b>Baseline</b>			
n/N (%)	64/65 (98)	30/30 (100)	-
MW (SD)	64,43 (11,379)	66,87 (12,286)	
<b>Änderung zu Woche 12</b>			
n/N (%)	62/65 (95)	30/30 (100)	Hedges` g 0,08 [-0,354; 0,518] 0,7122
MW (SD)	1,29 (6,754)	0,70 (7,813)	
LS MW (SE)	1,46 (0,894)	0,34 (1,305)	LS MD 1,12 [-2,086; 4,326] 0,4892
95 %-KI	-0,315; 3,239	-2,253; 2,937	
<b>Änderung zu Woche 26</b>			
n/N (%)	64/65 (98)	30/30 (100)	Hedges` g 0,18 [-0,258; 0,611] 0,4253
MW (SD)	1,95 (7,240)	0,50 (9,765)	
LS MW (SE)	2,14 (0,976)	0,10 (1,446)	LS MD 2,04 [-1,487; 5,569] 0,2534
95 %-KI	0,197; 4,076	-2,779; 2,970	
<b>Änderung zu Woche 38</b>			
n/N (%)	64/65 (98)	30/30 (100)	Hedges` g 0,30 [-0,137; 0,735] 0,1784
MW (SD)	1,65 (8,332)	-1,13 (10,941)	

PROPEL ERT experienced	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	65	30	-
LS MW (SE)	1,93 (1,148)	-1,72 (1,701)	LS MD 3,65 [-0,503; 7,796] 0,0842
95 %-KI	-0,354; 4,209	-5,100; 1,662	
<b>Änderung zu Woche 52</b>			
n/N (%)	64/65 (98)	30/30 (100)	Hedges' g 0,31 [-0,123; 0,749] 0,1593
MW (SD)	1,76 (7,179)	-0,97 (11,196)	
LS MW (SE)	1,90 (1,071)	-1,25 (1,587)	LS MD 3,14 [-0,728; 7,015] 0,1102
95 %-KI	-0,233; 4,024	-4,402; 1,907	
<p><sup>a</sup>Die Veränderung der Punktwerte gegenüber Baseline plus 95 %-KI und p-Wert zu jedem spezifizierten Zeitpunkt wurden mit einer ANCOVA, stratifiziert nach Geschlecht, Alter, Gewicht und Größe zu Baseline, mit dem Baseline-Wert der jeweiligen Skala als Kovariate auf Basis der Mittelwerte der kleinsten Quadrate analysiert. Das Effektmaß Hedges' g ist die Differenz der Mittelwerte geteilt durch die gepoolte Standardabweichung.</p> <p>ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; LS MD: Mittelwertdifferenz der kleinsten Quadrate; LS MW (SE): Mittelwert der kleinsten Quadrate (Standardfehler); MW (SD): Mittelwert (Standardabweichung); N: Patienten mit Baselinewert; n: Anzahl der Patienten mit Baselinewert in der Analyse</p>			

**35.7.1.05.01.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Körperliche Funktion (20a)  
Mittelwertveränderungsplot****35.7.1.05.01**

**35.7.1.05.02.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Fatigue (8a)****35.7.1.05.02.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Fatigue (8a): Analyse**

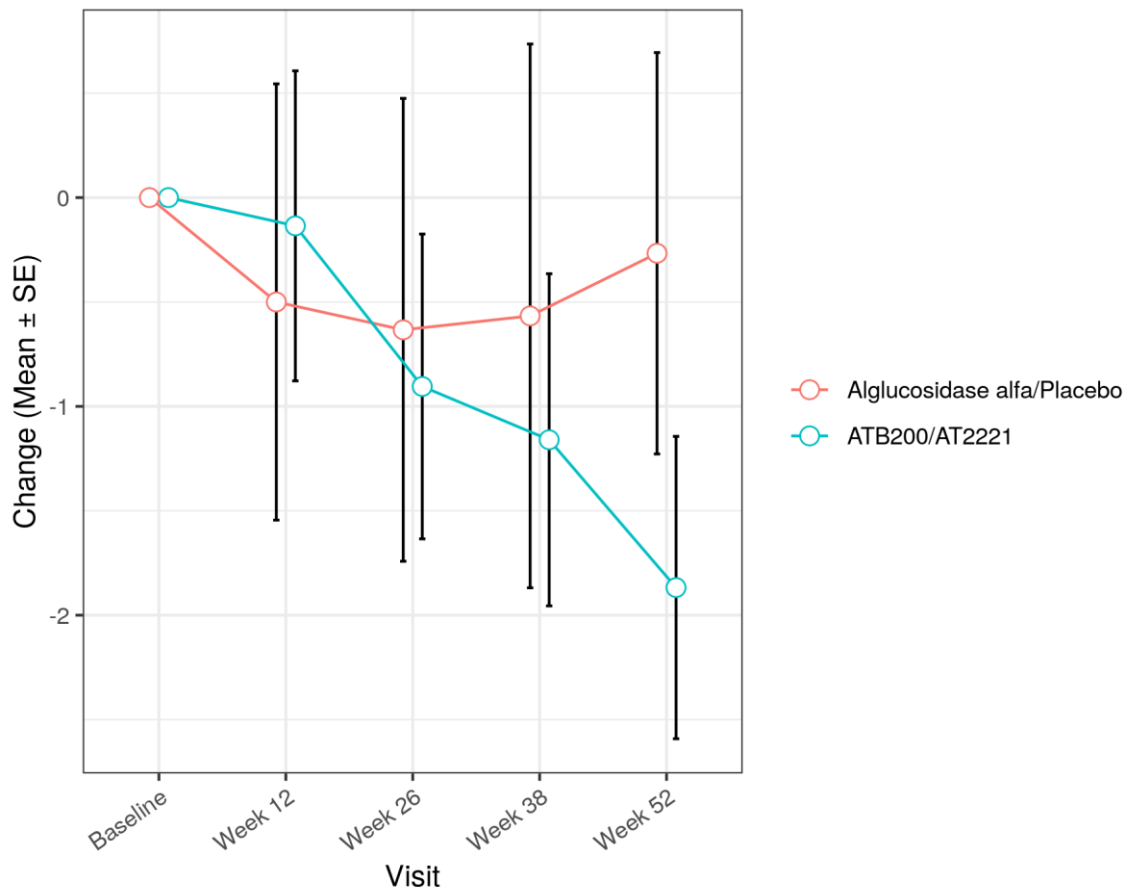
PROPEL ERT experienced	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidas- e alfa/Mig- lustat	Algluco- sidas- e alfa/Placebo	
N	65	30	-
<b>Veränderung des PROMIS-Wertes Fatigue (8a)</b>			
<b>Baseline</b>			
n/N (%)	65/65 (100)	30/30 (100)	-
MW (SD)	22,00 (7,924)	20,37 (5,379)	
<b>Änderung zu Woche 12</b>			
n/N (%)	65/65 (100)	30/30 (100)	Hedges` g 0,06 [-0,371; 0,494] 0,7814
MW (SD)	-0,14 (5,986)	-0,50 (5,722)	
LS MW (SE)	-0,09 (0,704)	-0,60 (1,055)	LS MD 0,50 [-2,065; 3,074] 0,6974
95 %-KI	-1,491; 1,309	-2,691; 1,500	
<b>Änderung zu Woche 26</b>			
n/N (%)	65/65 (100)	30/30 (100)	Hedges` g -0,05 [-0,478; 0,387] 0,8375
MW (SD)	-0,90 (5,885)	-0,63 (6,071)	
LS MW (SE)	-0,84 (0,684)	-0,78 (1,025)	LS MD -0,05 [-2,549; 2,446] 0,9676
95 %-KI	-2,195; 0,525	-2,821; 1,253	
<b>Änderung zu Woche 38</b>			
n/N (%)	65/65 (100)	30/30 (100)	Hedges` g -0,09 [-0,521; 0,344] 0,6884
MW (SD)	-1,16 (6,412)	-0,57 (7,133)	
LS MW (SE)	-0,80 (0,755)	-1,36 (1,131)	

PROPEL ERT experienced	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	65	30	-
95 %-KI	-2,297; 0,705	-3,603; 0,892	LS MD 0,56 [-2,197; 3,315] 0,6878
<b>Änderung zu Woche 52</b>			
n/N (%)	65/65 (100)	30/30 (100)	Hedges' g -0,28 [-0,715; 0,154] 0,2061
MW (SD)	-1,87 (5,838)	-0,27 (5,265)	
LS MW (SE)	-1,63 (0,637)	-0,79 (0,953)	LS MD -0,84 [-3,158; 1,487] 0,4764
95 %-KI	-2,891; -0,361	-2,684; 1,104	
<p><sup>a</sup>Die Veränderung der Punktwerte gegenüber Baseline plus 95 %-KI und p-Wert zu jedem spezifizierten Zeitpunkt wurden mit einer ANCOVA, stratifiziert nach Geschlecht, Alter, Gewicht und Größe zu Baseline, mit dem Baseline-Wert der jeweiligen Skala als Kovariate auf Basis der Mittelwerte der kleinsten Quadrate analysiert. Das Effektmaß Hedges' g ist die Differenz der Mittelwerte geteilt durch die gepoolte Standardabweichung.</p> <p>ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; LS MD: Mittelwertdifferenz der kleinsten Quadrate; LS MW (SE): Mittelwert der kleinsten Quadrate (Standardfehler); MW (SD): Mittelwert (Standardabweichung); N: Patienten mit Baselinewert; n: Anzahl der Patienten mit Baselinewert in der Analyse</p>			



**35.7.1.05.02.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Fatigue (8a)  
Mittelwertveränderungsplot**

35.7.1.05.02



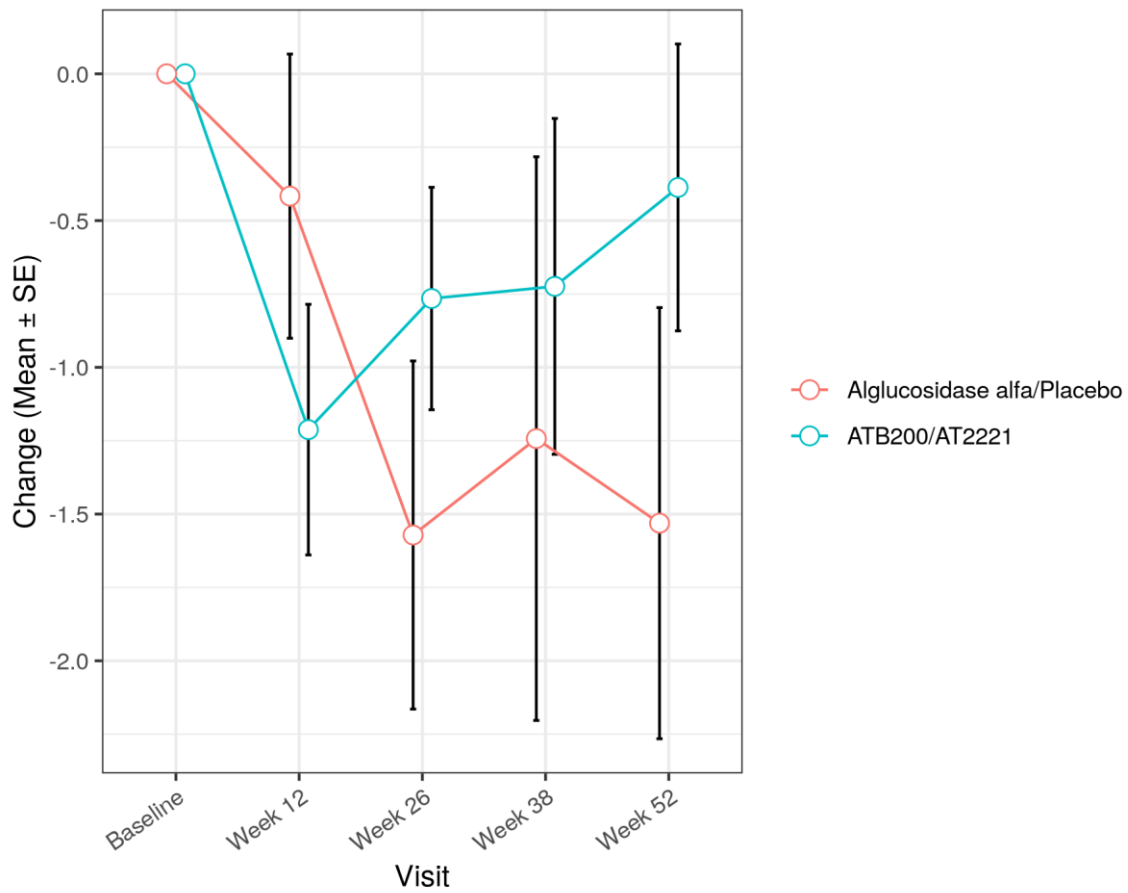
**35.7.1.05.03.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Dyspnoe (10a)****35.7.1.05.03.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Dyspnoe (10a): Analyse**

PROPEL ERT experienced	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco- sidas- e alfa/Miglustat	Alglu- cosidas- e alfa/Placebo	
N	65	30	-
<b>Veränderung des PROMIS-Wertes Dyspnoe (10a)</b>			
<b>Baseline</b>			
n/N (%)	65/65 (100)	30/30 (100)	-
MW (SD)	8,46 (4,766)	7,96 (5,034)	
<b>Änderung zu Woche 12</b>			
n/N (%)	65/65 (100)	30/30 (100)	Hedges` g -0,25 [-0,679; 0,189] 0,2680
MW (SD)	-1,21 (3,443)	-0,42 (2,652)	
LS MW (SE)	-1,19 (0,406)	-0,47 (0,606)	LS MD -0,72 [-2,194; 0,754] 0,3341
95 %-KI	-1,995; -0,382	-1,672; 0,736	
<b>Änderung zu Woche 26</b>			
n/N (%)	61/65 (94)	28/30 (93)	Hedges` g 0,26 [-0,193; 0,705] 0,2632
MW (SD)	-0,77 (3,055)	-1,57 (3,249)	
LS MW (SE)	-0,82 (0,408)	-1,45 (0,612)	LS MD 0,63 [-0,865; 2,115] 0,4064
95 %-KI	-1,634; -0,011	-2,665; -0,230	
<b>Änderung zu Woche 38</b>			
n/N (%)	62/65 (95)	28/30 (93)	Hedges` g 0,11 [-0,340; 0,553] 0,6397
MW (SD)	-0,72 (4,614)	-1,24 (5,260)	
LS MW (SE)	-0,63 (0,609)	-1,46 (0,920)	

PROPEL ERT experienced	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	65	30	-
95 %-KI	-1,838; 0,583	-3,287; 0,374	LS MD 0,83 [-1,405; 3,063] 0,4625
<b>Änderung zu Woche 52</b>			
n/N (%)	62/65 (95)	29/30 (97)	Hedges' g 0,29 [-0,157; 0,729] 0,2058
MW (SD)	-0,39 (3,940)	-1,53 (4,023)	
LS MW (SE)	-0,37 (0,494)	-1,56 (0,732)	LS MD 1,19 [-0,591; 2,974] 0,1873
95 %-KI	-1,355; 0,611	-3,019; -0,108	
<p><sup>a</sup>Die Veränderung der Punktwerte gegenüber Baseline plus 95 %-KI und p-Wert zu jedem spezifizierten Zeitpunkt wurden mit einer ANCOVA, stratifiziert nach Geschlecht, Alter, Gewicht und Größe zu Baseline, mit dem Baseline-Wert der jeweiligen Skala als Kovariate auf Basis der Mittelwerte der kleinsten Quadrate analysiert. Das Effektmaß Hedges' g ist die Differenz der Mittelwerte geteilt durch die gepoolte Standardabweichung.</p> <p>ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; LS MD: Mittelwertdifferenz der kleinsten Quadrate; LS MW (SE): Mittelwert der kleinsten Quadrate (Standardfehler); MW (SD): Mittelwert (Standardabweichung); N: Patienten mit Baselinewert; n: Anzahl der Patienten mit Baselinewert in der Analyse</p>			

**35.7.1.05.03.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Dyspnoe (10a)**  
**Mittelwertveränderungsplot**

35.7.1.05.03



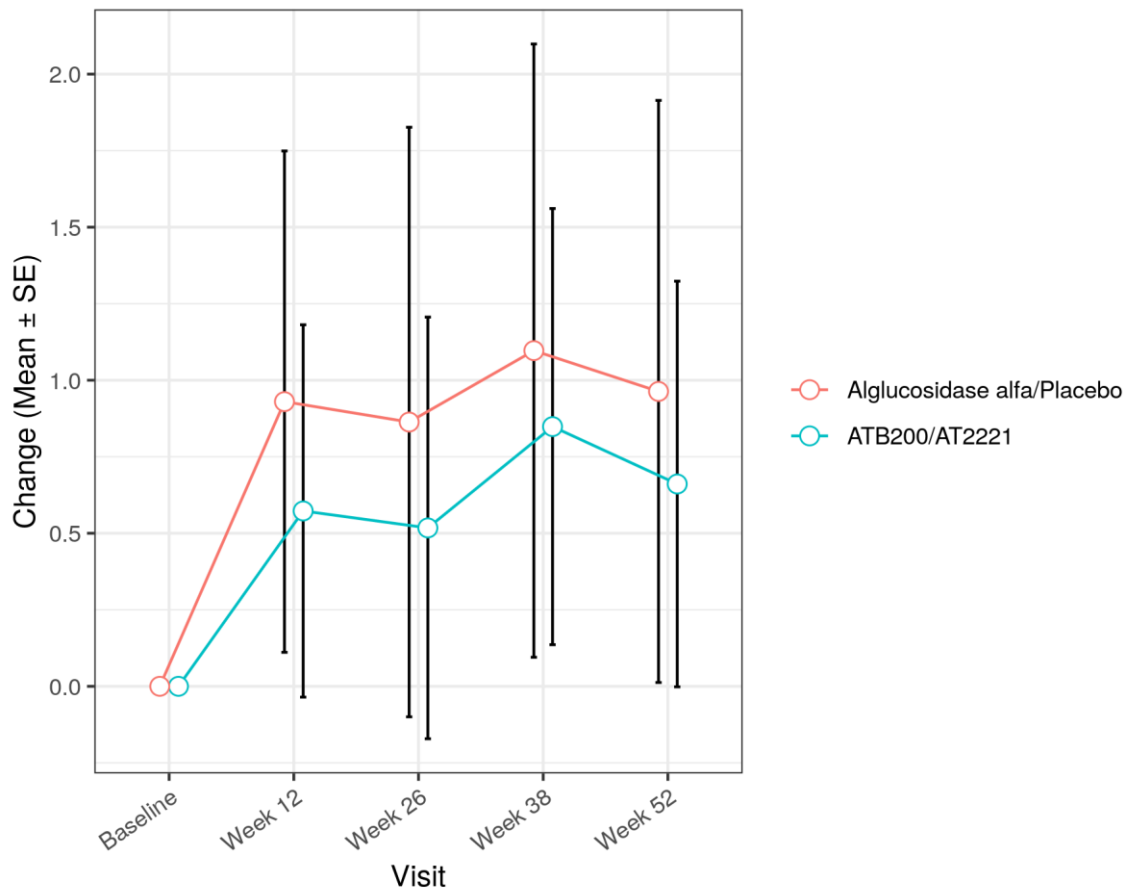
**35.7.1.05.04.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Obere Extremitäten (7a)****35.7.1.05.04.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Obere Extremitäten (7a): Analyse**

PROPEL ERT experienced	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	65	30	-
<b>Veränderung des PROMIS-Wertes Obere Extremitäten (7a)</b>			
<b>Baseline</b>			
n/N (%)	64/65 (98)	30/30 (100)	-
MW (SD)	22,53 (4,720)	22,64 (6,324)	
<b>Änderung zu Woche 12</b>			
n/N (%)	59/65 (91)	30/30 (100)	Hedges` g -0,07 [-0,514; 0,365] 0,7406
MW (SD)	0,57 (4,903)	0,93 (4,486)	
LS MW (SE)	0,62 (0,580)	0,84 (0,825)	LS MD -0,22 [-2,263; 1,824] 0,8311
95 %-KI	-0,534; 1,772	-0,801; 2,479	
<b>Änderung zu Woche 26</b>			
n/N (%)	63/65 (97)	30/30 (100)	Hedges` g -0,06 [-0,498; 0,372] 0,7773
MW (SD)	0,52 (5,553)	0,86 (5,275)	
LS MW (SE)	0,59 (0,627)	0,72 (0,920)	LS MD -0,13 [-2,378; 2,113] 0,9067
95 %-KI	-0,660; 1,832	-1,109; 2,547	
<b>Änderung zu Woche 38</b>			
n/N (%)	64/65 (98)	30/30 (100)	Hedges` g -0,04 [-0,477; 0,390] 0,8443
MW (SD)	0,85 (5,743)	1,10 (5,487)	
LS MW (SE)	0,93 (0,686)	0,92 (1,015)	

PROPEL ERT experienced	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	65	30	-
95 %-KI	-0,430; 2,296	-1,101; 2,934	LS MD 0,02 [-2,457; 2,489] 0,9899
<b>Änderung zu Woche 52</b>			
n/N (%)	64/65 (98)	30/30 (100)	Hedges' g -0,06 [-0,490; 0,377] 0,7982
MW (SD)	0,66 (5,342)	0,96 (5,208)	
LS MW (SE)	0,69 (0,632)	0,90 (0,936)	LS MD -0,21 [-2,486; 2,074] 0,8580
95 %-KI	-0,565; 1,948	-0,962; 2,758	
<p><sup>a</sup>Die Veränderung der Punktwerte gegenüber Baseline plus 95 %-KI und p-Wert zu jedem spezifizierten Zeitpunkt wurden mit einer ANCOVA, stratifiziert nach Geschlecht, Alter, Gewicht und Größe zu Baseline, mit dem Baseline-Wert der jeweiligen Skala als Kovariate auf Basis der Mittelwerte der kleinsten Quadrate analysiert. Das Effektmaß Hedges' g ist die Differenz der Mittelwerte geteilt durch die gepoolte Standardabweichung.</p> <p>ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; LS MD: Mittelwertdifferenz der kleinsten Quadrate; LS MW (SE): Mittelwert der kleinsten Quadrate (Standardfehler); MW (SD): Mittelwert (Standardabweichung); N: Patienten mit Baselinewert; n: Anzahl der Patienten mit Baselinewert in der Analyse</p>			

**35.7.1.05.04.1. Veränderung des PROMIS-Wertes Obere Extremitäten (7a)  
Mittelwertveränderungsplot**

35.7.1.05.04



**Rasch-built Pompe-specific Activity (R-PAct)****35.7.1.08****35.7.1.08.01.1. Veränderung des R-PAct-Gesamtwertes****35.7.1.08.01.1. Veränderung des R-PAct-Gesamtwertes: Analyse**

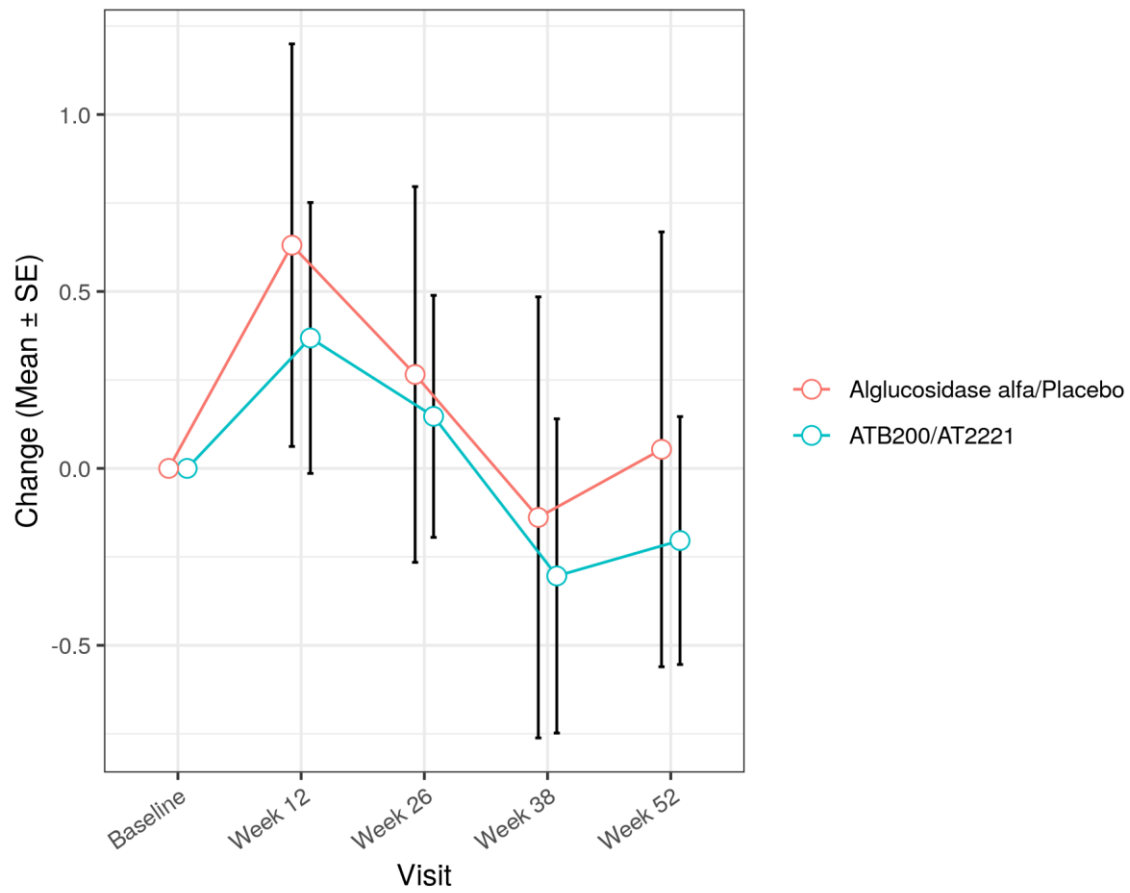
PROPEL ERT experienced	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipaglucosidase alfa/Miglustat	Alglucosidase alfa/Placebo	
N	65	30	-
<b>Veränderung des R-PAct-Gesamtwertes</b>			
<b>Baseline</b>			
n/N (%)	51/65 (78)	26/30 (87)	-
MW (SD)	18,91 (5,090)	20,02 (6,500)	
<b>Änderung zu Woche 12</b>			
n/N (%)	51/65 (78)	26/30 (87)	Hedges` g -0,08 [-0,556; 0,389] 0,7280
MW (SD)	0,37 (3,086)	0,63 (3,115)	
LS MW (SE)	0,31 (0,441)	0,75 (0,622)	LS MD -0,45 [-1,985; 1,088] 0,5626
95 %-KI	-0,573; 1,185	-0,486; 1,995	
<b>Änderung zu Woche 26</b>			
n/N (%)	51/65 (78)	26/30 (87)	Hedges` g -0,04 [-0,514; 0,431] 0,8626
MW (SD)	0,15 (2,757)	0,27 (2,908)	
LS MW (SE)	0,15 (0,402)	0,26 (0,567)	LS MD -0,11 [-1,510; 1,291] 0,8760
95 %-KI	-0,651; 0,951	-0,871; 1,390	
<b>Änderung zu Woche 38</b>			
n/N (%)	51/65 (78)	26/30 (87)	Hedges` g -0,05 [-0,519; 0,426] 0,8471
MW (SD)	-0,30 (3,579)	-0,14 (3,413)	



PROPEL ERT experienced	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	65	30	-
LS MW (SE)	-0,34 (0,510)	-0,06 (0,719)	LS MD -0,28 [-2,062; 1,492] 0,7502
95 %-KI	-1,361; 0,672	-1,494; 1,375	
<b>Änderung zu Woche 52</b>			
n/N (%)	51/65 (78)	26/30 (87)	Hedges' g -0,08 [-0,557; 0,388] 0,7255
MW (SD)	-0,20 (2,824)	0,05 (3,365)	
LS MW (SE)	-0,19 (0,436)	0,02 (0,616)	LS MD -0,21 [-1,729; 1,313] 0,7861
95 %-KI	-1,057; 0,683	-1,207; 1,249	
<p><sup>a</sup>Die Veränderung der Punktwerte gegenüber Baseline plus 95 %-KI und p-Wert zu jedem spezifizierten Zeitpunkt wurden mit einer ANCOVA, stratifiziert nach Geschlecht, Alter, Gewicht und Größe zu Baseline, mit dem Baseline-Wert der jeweiligen Skala als Kovariate auf Basis der Mittelwerte der kleinsten Quadrate analysiert. Das Effektmaß Hedges' g ist die Differenz der Mittelwerte geteilt durch die gepoolte Standardabweichung.</p> <p>ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; LS MD: Mittelwertdifferenz der kleinsten Quadrate; LS MW (SE): Mittelwert der kleinsten Quadrate (Standardfehler); MW (SD): Mittelwert (Standardabweichung); N: Patienten mit Baselinewert; n: Anzahl der Patienten mit Baselinewert in der Analyse</p>			

**35.7.1.08.01.1. Veränderung des R-Pact-Gesamtwertes Mittelwertveränderungsplot**

35.7.1.08.01



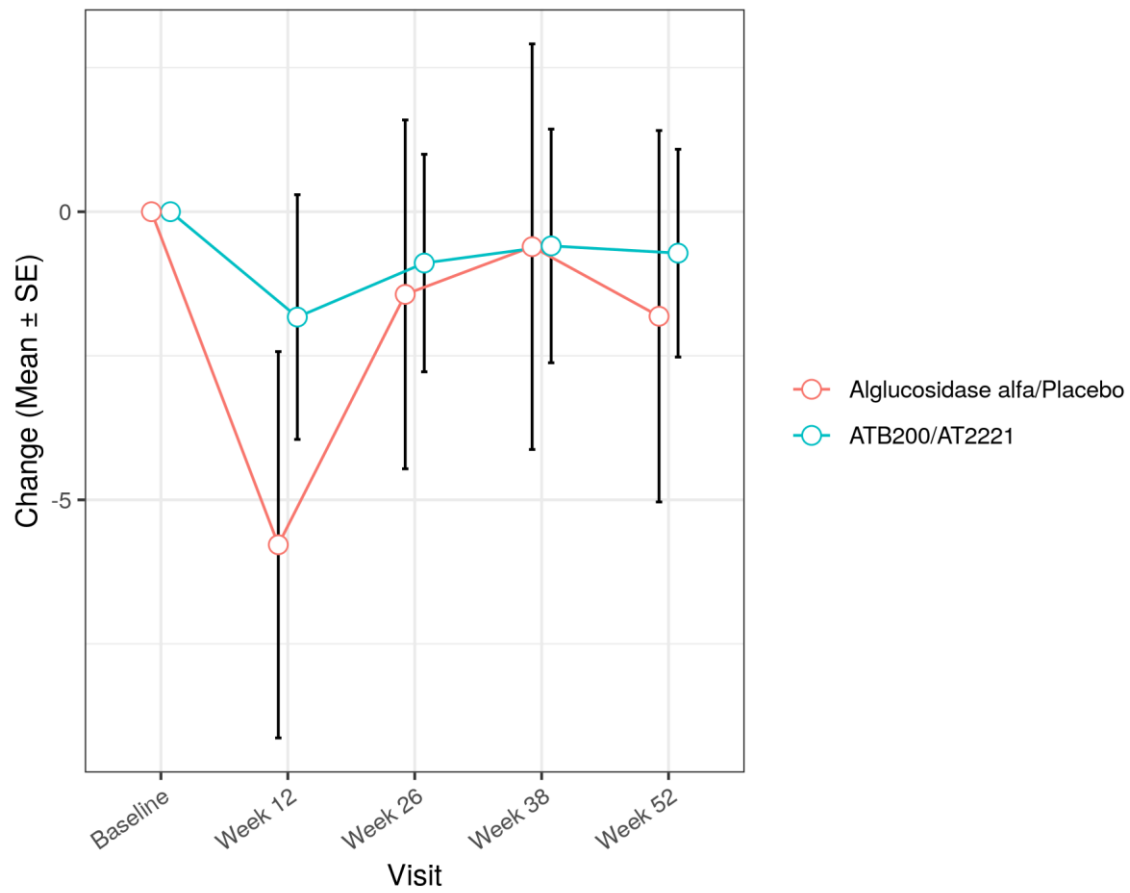
**European Quality of Life 5 Dimensions Visual Analogue Scale (EQ-5D-VAS)****35.7.1.09****35.7.1.09.01.1. Veränderung des EQ-VAS-Wertes****35.7.1.09.01.1. Veränderung des EQ-VAS-Wertes: Analyse**

PROPEL ERT experienced	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	65	30	-
<b>Veränderung des EQ-VAS-Wertes</b>			
<b>Baseline</b>			
n/N (%)	64/65 (98)	29/30 (97)	-
MW (SD)	68,20 (18,395)	74,33 (13,740)	
<b>Änderung zu Woche 12</b>			
n/N (%)	64/65 (98)	29/30 (97)	Hedges` g 0,22 [-0,216; 0,664] 0,3187
MW (SD)	-1,83 (17,116)	-5,78 (18,359)	
LS MW (SE)	-2,53 (1,866)	-4,22 (2,835)	LS MD 1,69 [-5,228; 8,605] 0,6287
95 %-KI	-6,243; 1,176	-9,858; 1,414	
<b>Änderung zu Woche 26</b>			
n/N (%)	64/65 (98)	29/30 (97)	Hedges` g 0,03 [-0,404; 0,473] 0,8776
MW (SD)	-0,89 (15,215)	-1,43 (16,579)	
LS MW (SE)	-1,41 (1,694)	-0,30 (2,573)	LS MD -1,11 [-7,388; 5,168] 0,7260
95 %-KI	-4,773; 1,960	-5,412; 4,819	
<b>Änderung zu Woche 38</b>			
n/N (%)	64/65 (98)	29/30 (97)	Hedges` g 0,00 [-0,438; 0,439] 0,9973
MW (SD)	-0,59 (16,345)	-0,61 (19,274)	

PROPEL ERT experienced	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>
	Cipagluco­sidase alfa/Miglustat	Algluco­sidase alfa/Placebo	
N	65	30	-
LS MW (SE)	-1,26 (1,945)	0,87 (2,955)	LS MD -2,14 [-9,344; 5,073] 0,5574
95 %-KI	-5,130; 2,602	-5,002; 6,745	
<b>Änderung zu Woche 52</b>			
n/N (%)	64/65 (98)	29/30 (97)	Hedges' g 0,07 [-0,369; 0,509] 0,7553
MW (SD)	-0,72 (14,533)	-1,81 (17,652)	
LS MW (SE)	-1,37 (1,794)	-0,37 (2,726)	LS MD -1,01 [-7,657; 5,642] 0,7641
95 %-KI	-4,940; 2,192	-5,785; 5,051	
<p><sup>a</sup>Die Veränderung der Punktwerte gegenüber Baseline plus 95 %-KI und p-Wert zu jedem spezifizierten Zeitpunkt wurden mit einer ANCOVA, stratifiziert nach Geschlecht, Alter, Gewicht und Größe zu Baseline, mit dem Baseline-Wert der jeweiligen Skala als Kovariate auf Basis der Mittelwerte der kleinsten Quadrate analysiert. Das Effektmaß Hedges' g ist die Differenz der Mittelwerte geteilt durch die gepoolte Standardabweichung.</p> <p>ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; LS MD: Mittelwertdifferenz der kleinsten Quadrate; LS MW (SE): Mittelwert der kleinsten Quadrate (Standardfehler); MW (SD): Mittelwert (Standardabweichung); N: Patienten mit Baselinewert; n: Anzahl der Patienten mit Baselinewert in der Analyse</p>			

### 35.7.1.09.01.1. Veränderung des EQ-VAS-Wertes Mittelwertveränderungsplot

#### 35.7.1.09.01



**Sicherheit****Unerwünschte Ereignisse (UE)****35.7.1.S.01****35.7.1.S.01.01.2. UE****35.7.1.S.01.01.2. UE: Analyse**

Studie PROPEL	Behandlungsarm		ATB200/AT2221 vs. Alglucosidase alfa/Placebo Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>		
	ATB200/AT2221	Alglucosidase alfa/Placebo	RR	OR	ARR
N	65	30			
<b>UE</b>					
n (%)	65 (100)	30 (100)	0,99 [0,909; 1,074]	0,73 [0,069; 7,712]	-0,01 [-0,093; 0,070]
Ja (%)	62 (95)	29 (97)	0,7771	0,7933	0,7813
Nein (%)	3 (5)	1 (3)			
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach dem Faktor „Baseline 6MWD“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>					

**35.7.1.S.01.02.2. Bei mindestens 10% der Patienten aufgetretene SOC und PT in UE nach SOC und PT: Analyse**

Studie PROPEL	Behandlungsarm		ATB200/AT2221 vs. Alglucosidase alfa/Placebo Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>		
	ATB200/AT2221	Alglucosidase alfa/Placebo			
N	65	30	RR	OR	ARR
<b>Bei mindestens 10% der Patienten aufgetretene SOC und PT in UE nach SOC und PT</b>					
<b>Infektionen und parasitäre Erkrankungen (SOC)</b>	<b>38 (58%)</b>	<b>17 (57%)</b>	<b>1,05</b> [0,721; 1,516] <b>0,8161</b>	<b>1,11</b> [0,459; 2,688] <b>0,8154</b>	<b>0,03</b> [-0,190; 0,241] <b>0,8158</b>
Nasopharyngitis (PT)	14 (22%)	2 (7%)	4,55 [0,928; 22,311] 0,0618	8,10 [0,970; 67,623] 0,0534	0,18 [0,059; 0,293] 0,0032
Infektion der oberen Atemwege (PT)	2 (3%)	6 (20%)	0,15 [0,032; 0,680] 0,0140	0,11 [0,021; 0,620] 0,0120	-0,18 [-0,325; -0,025] 0,0223
Harnwegsinfektion (PT)	7 (11%)	2 (7%)	1,70 [0,397; 7,274] 0,4751	1,79 [0,357; 8,983] 0,4788	0,05 [-0,073; 0,168] 0,4357
<b>Stoffwechsel- und Ernährungsstörungen (SOC)</b>	<b>4 (6%)</b>	<b>4 (13%)</b>	<b>0,42</b> [0,114; 1,548] <b>0,1925</b>	<b>0,38</b> [0,087; 1,654] <b>0,1967</b>	<b>-0,08</b> [-0,217; 0,056] <b>0,2452</b>
<b>Psychiatrische Erkrankungen (SOC)</b>	<b>7 (11%)</b>	<b>4 (13%)</b>	<b>0,88</b> [0,281; 2,789] <b>0,8342</b>	<b>0,87</b> [0,228; 3,305] <b>0,8352</b>	<b>-0,01</b> [-0,158; 0,128] <b>0,8382</b>
<b>Erkrankungen des Nervensystems (SOC)</b>	<b>25 (38%)</b>	<b>13 (43%)</b>	<b>0,88</b> [0,529; 1,450] <b>0,6058</b>	<b>0,79</b> [0,323; 1,947] <b>0,6125</b>	<b>-0,05</b> [-0,266; 0,157] <b>0,6141</b>
Schwindelgefühl (PT)	7 (11%)	3 (10%)	1,10 [0,318; 3,778] 0,8855	1,11 [0,273; 4,481] 0,8881	0,01 [-0,126; 0,146] 0,8865
Kopfschmerzen (PT)	15 (23%)	8 (27%)	0,84 [0,373; 1,870] 0,6618	0,80 [0,298; 2,144] 0,6559	-0,04 [-0,236; 0,150] 0,6624

Medizinischer Nutzen, medizinischer Zusatznutzen, Patientengruppen mit therap. bedeutsamem Zusatznutzen

Studie PROPEL	Behandlungsarm		ATB200/AT2221 vs. Alglucosidase alfa/Placebo		
	ATB200/AT22 21	Alglucosidase alfa/Placebo	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>		
N	65	30	RR	OR	ARR
Augenerkrankungen (SOC)	2 (3%)	3 (10%)	<b>0,26</b> [0,048; 1,441] <b>0,1239</b>	<b>0,23</b> [0,034; 1,506] <b>0,1247</b>	<b>-0,08</b> [-0,195; 0,038] <b>0,1863</b>
Gefäßerkrankungen (SOC)	8 (12%)	2 (7%)	<b>1,95</b> [0,377; 10,027] <b>0,4265</b>	<b>2,03</b> [0,382; 10,775] <b>0,4058</b>	<b>0,06</b> [-0,061; 0,175] <b>0,3458</b>
Erkrankungen der Atemwege, des Brustraums und Mediastinums (SOC)	21 (32%)	8 (27%)	<b>1,15</b> [0,584; 2,263] <b>0,6874</b>	<b>1,22</b> [0,464; 3,210] <b>0,6862</b>	<b>0,04</b> [-0,156; 0,238] <b>0,6815</b>
Erkrankungen des Gastrointestinaltrakts (SOC)	20 (31%)	13 (43%)	<b>0,74</b> [0,430; 1,279] <b>0,2821</b>	<b>0,61</b> [0,245; 1,529] <b>0,2931</b>	<b>-0,11</b> [-0,318; 0,099] <b>0,3015</b>
Abdominalschmerz (PT)	2 (3%)	3 (10%)	0,47 [0,090; 2,447] 0,3698	0,38 [0,048; 2,939] 0,3515	-0,04 [-0,146; 0,058] 0,4012
Schmerzen Oberbauch (PT)	1 (2%)	3 (10%)	0,15 [0,013; 1,626] 0,1178	0,13 [0,012; 1,454] 0,0980	-0,08 [-0,191; 0,028] 0,1439
Obstipation (PT)	1 (2%)	3 (10%)	0,17 [0,017; 1,699] 0,1321	0,17 [0,018; 1,649] 0,1271	-0,08 [-0,191; 0,033] 0,1652
Diarrhoe (PT)	6 (9%)	3 (10%)	1,05 [0,226; 4,862] 0,9517	1,05 [0,231; 4,774] 0,9491	0,00 [-0,122; 0,130] 0,9487
Uebelkeit (PT)	6 (9%)	7 (23%)	0,40 [0,136; 1,162] 0,0919	0,35 [0,105; 1,154] 0,0844	-0,14 [-0,303; 0,032] 0,1137
Erkrankungen der Haut und des Unterhautgewebes (SOC)	7 (11%)	8 (27%)	<b>0,38</b> [0,144; 0,997] <b>0,0493</b>	<b>0,31</b> [0,099; 0,988] <b>0,0477</b>	<b>-0,17</b> [-0,341; 0,011] <b>0,0660</b>



Medizinischer Nutzen, medizinischer Zusatznutzen, Patientengruppen mit therap. bedeutsamem Zusatznutzen

Studie PROPEL	Behandlungsarm		ATB200/AT2221 vs. Alglucosidase alfa/Placebo Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>		
	ATB200/AT22 21	Alglucosidase alfa/Placebo	RR	OR	ARR
N	65	30			
<b>Skelettmuskulatur-, Bindegewebs- und Knochenkrankungen (SOC)</b>	32 (49%)	16 (53%)	<b>0,93</b> [0,616; 1,411] <b>0,7393</b>	<b>0,86</b> [0,360; 2,074] <b>0,7436</b>	<b>-0,04</b> [-0,254; 0,181] <b>0,7433</b>
Arthralgie (PT)	9 (14%)	4 (13%)	1,20 [0,382; 3,766] 0,7564	1,24 [0,328; 4,690] 0,7516	0,02 [-0,120; 0,167] 0,7436
Rueckenschmerzen (PT)	6 (9%)	6 (20%)	0,49 [0,176; 1,350] 0,1667	0,43 [0,123; 1,475] 0,1783	-0,10 [-0,263; 0,058] 0,2112
Muskulaere Schwaeche (PT)	3 (5%)	5 (17%)	0,24 [0,060; 0,991] 0,0485	0,21 [0,045; 0,976] 0,0465	-0,13 [-0,275; 0,014] 0,0762
Myalgie (PT)	11 (17%)	4 (13%)	1,30 [0,422; 4,013] 0,6475	1,36 [0,382; 4,835] 0,6360	0,04 [-0,113; 0,189] 0,6212
Schmerz in einer Extremitaet (PT)	9 (14%)	2 (7%)	1,99 [0,464; 8,522] 0,3548	2,19 [0,433; 11,044] 0,3438	0,07 [-0,055; 0,190] 0,2794
<b>Erkrankungen der Nieren und Harnwege (SOC)</b>	4 (6%)	3 (10%)	<b>0,64</b> [0,163; 2,533] <b>0,5277</b>	<b>0,62</b> [0,135; 2,886] <b>0,5471</b>	<b>-0,04</b> [-0,165; 0,090] <b>0,5678</b>
<b>Erkrankungen der Geschlechtsor- gane und der Brustdrüse (SOC)</b>	3 (5%)	3 (10%)	<b>0,44</b> [0,084; 2,290] <b>0,3291</b>	<b>0,41</b> [0,072; 2,335] <b>0,3146</b>	<b>-0,05</b> [-0,170; 0,063] <b>0,3652</b>

Medizinischer Nutzen, medizinischer Zusatznutzen, Patientengruppen mit therap. bedeutsamem Zusatznutzen

Studie PROPEL	Behandlungsarm		ATB200/AT2221 vs. Alglucosidase alfa/Placebo		
	ATB200/AT22 21	Alglucosidase alfa/Placebo	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>		
N	65	30	RR	OR	ARR
Allgemeine Erkrankungen und Beschwerden am Verabreichun gsort (SOC)	22 (34%)	12 (40%)	0,84 [0,488; 1,429] 0,5108	0,75 [0,304; 1,841] 0,5268	-0,07 [-0,279; 0,144] 0,5301
Asthenie (PT)	1 (2%)	3 (10%)	0,15 [0,012; 1,816] 0,1361	0,14 [0,013; 1,567] 0,1113	-0,08 [-0,189; 0,030] 0,1550
Ermuedung (PT)	6 (9%)	4 (13%)	0,59 [0,191; 1,843] 0,3663	0,53 [0,128; 2,168] 0,3747	-0,06 [-0,195; 0,080] 0,4097
Untersuchung en (SOC)	13 (20%)	2 (7%)	3,70 [0,839; 16,307] 0,0838	5,10 [0,884; 29,408] 0,0684	0,16 [0,031; 0,281] 0,0142
Verletzung, Vergiftung und durch Eingriffe bedingte Komplikation en (SOC)	28 (43%)	17 (57%)	0,76 [0,483; 1,196] 0,2357	0,59 [0,250; 1,415] 0,2399	-0,13 [-0,351; 0,087] 0,2373
Kontusion (PT)	3 (5%)	3 (10%)	0,44 [0,084; 2,290] 0,3291	0,41 [0,072; 2,335] 0,3146	-0,05 [-0,170; 0,063] 0,3652
Sturz (PT)	22 (34%)	14 (47%)	0,73 [0,425; 1,247] 0,2479	0,59 [0,236; 1,452] 0,2477	-0,12 [-0,332; 0,088] 0,2537
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach dem Faktor „Baseline 6MWD“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>					

**Milde UE****35.7.1.S.02****35.7.1.S.02.01.2. Milde UE****35.7.1.S.02.01.2. Milde UE: Analyse**

Studie PROPEL	Behandlungsarm		ATB200/AT2221 vs. Alglucosidase alfa/Placebo		
	ATB200/AT22 21	Alglucosidase alfa/Placebo	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>		
N	65	30	RR	OR	ARR
<b>Milde UE</b>					
n (%)	65 (100)	30 (100)	0,96	0,41	-0,04
Ja (%)	60 (92)	29 (97)	[0,871; 1,050]	[0,043; 3,938]	[-0,132; 0,048]
Nein (%)	5 (8)	1 (3)	0,3519	0,4405	0,3603
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach dem Faktor „Baseline 6MWD“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>					

**35.7.1.S.02.02.2. Bei mindestens 10% der Patienten aufgetretene SOC und PT in Milde UE nach SOC und PT: Analyse**

Studie PROPEL	Behandlungsarm		ATB200/AT2221 vs. Alglucosidase alfa/Placebo Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>		
	ATB200/AT2221	Alglucosidase alfa/Placebo	RR	OR	ARR
N	65	30			
<b>Bei mindestens 10% der Patienten aufgetretene SOC und PT in Milde UE nach SOC und PT</b>					
<b>Infektionen und parasitäre Erkrankungen (SOC)</b>	<b>32 (49%)</b>	<b>12 (40%)</b>	<b>1,25</b> [0,747; 2,087] <b>0,3960</b>	<b>1,49</b> [0,614; 3,623] <b>0,3771</b>	<b>0,10</b> [-0,116; 0,313] <b>0,3693</b>
Nasopharyngitis (PT)	14 (22%)	2 (7%)	4,55 [0,928; 22,311] 0,0618	8,10 [0,970; 67,623] 0,0534	0,18 [0,059; 0,293] 0,0032
Infektion der oberen Atemwege (PT)	1 (2%)	3 (10%)	0,16 [0,019; 1,313] 0,0878	0,14 [0,015; 1,418] 0,0967	-0,09 [-0,202; 0,027] 0,1325
Stoffwechsel- und Ernährungsstörungen (SOC)	4 (6%)	3 (10%)	0,56 [0,135; 2,354] 0,4317	0,53 [0,110; 2,581] 0,4344	-0,05 [-0,169; 0,078] 0,4713
Psychiatrische Erkrankungen (SOC)	7 (11%)	2 (7%)	1,66 [0,382; 7,236] 0,4980	1,74 [0,347; 8,692] 0,5011	0,05 [-0,075; 0,166] 0,4606
Erkrankungen des Nervensystems (SOC)	21 (32%)	12 (40%)	0,80 [0,452; 1,399] 0,4263	0,70 [0,281; 1,726] 0,4352	-0,08 [-0,293; 0,127] 0,4408
Schwindelgefühl (PT)	7 (11%)	3 (10%)	1,10 [0,318; 3,778] 0,8855	1,11 [0,273; 4,481] 0,8881	0,01 [-0,126; 0,146] 0,8865
Kopfschmerzen (PT)	13 (20%)	6 (20%)	0,96 [0,359; 2,571] 0,9374	0,96 [0,335; 2,739] 0,9355	-0,01 [-0,188; 0,174] 0,9359
Augenerkrankungen (SOC)	2 (3%)	3 (10%)	0,26 [0,048; 1,441] 0,1239	0,23 [0,034; 1,506] 0,1247	-0,08 [-0,195; 0,038] 0,1863

Medizinischer Nutzen, medizinischer Zusatznutzen, Patientengruppen mit therap. bedeutsamem Zusatznutzen

Studie PROPEL	Behandlungsarm		ATB200/AT2221 vs. Alglucosidase alfa/Placebo Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>		
	ATB200/AT22 21	Alglucosidase alfa/Placebo			
N	65	30	RR	OR	ARR
Erkrankungen der Atemwege, des Brustraums und Mediastinums (SOC)	18 (28%)	8 (27%)	<b>0,99</b> [0,490; 1,990] <b>0,9732</b>	<b>0,98</b> [0,370; 2,612] <b>0,9735</b>	<b>-0,00</b> [-0,198; 0,192] <b>0,9735</b>
Erkrankungen des Gastrointestin altrakts (SOC)	18 (28%)	12 (40%)	<b>0,74</b> [0,410; 1,324] <b>0,3067</b>	<b>0,62</b> [0,244; 1,576] <b>0,3157</b>	<b>-0,10</b> [-0,307; 0,102] <b>0,3271</b>
Abdominalsch merz (PT)	1 (2%)	3 (10%)	0,17 [0,011; 2,642] 0,2056	0,17 [0,016; 1,775] 0,1388	-0,07 [-0,173; 0,036] 0,2000
Schmerzen Oberbauch (PT)	1 (2%)	3 (10%)	0,15 [0,013; 1,626] 0,1178	0,13 [0,012; 1,454] 0,0980	-0,08 [-0,191; 0,028] 0,1439
Obstipation (PT)	1 (2%)	3 (10%)	0,17 [0,017; 1,699] 0,1321	0,17 [0,018; 1,649] 0,1271	-0,08 [-0,191; 0,033] 0,1652
Diarrhoe (PT)	5 (8%)	3 (10%)	0,88 [0,181; 4,319] 0,8784	0,88 [0,187; 4,149] 0,8716	-0,01 [-0,133; 0,113] 0,8743
Uebelkeit (PT)	4 (6%)	5 (17%)	0,36 [0,097; 1,309] 0,1201	0,32 [0,077; 1,321] 0,1148	-0,11 [-0,251; 0,040] 0,1548
Erkrankungen der Haut und des Unterhautgew ebes (SOC)	6 (9%)	8 (27%)	<b>0,33</b> [0,118; 0,900] <b>0,0306</b>	<b>0,27</b> [0,081; 0,871] <b>0,0286</b>	<b>-0,18</b> [-0,353; - <b>0,005]</b> <b>0,0434</b>
Skelettmuskul atur-, Bindegewebs- und Knochenerkra nkungen (SOC)	28 (43%)	14 (47%)	<b>0,92</b> [0,566; 1,494] <b>0,7354</b>	<b>0,86</b> [0,356; 2,072] <b>0,7358</b>	<b>-0,04</b> [-0,253; 0,179] <b>0,7363</b>

Medizinischer Nutzen, medizinischer Zusatznutzen, Patientengruppen mit therap. bedeutsamem Zusatznutzen

Studie PROPEL	Behandlungsarm		ATB200/AT2221 vs. Alglucosidase alfa/Placebo		
	ATB200/AT22 21	Alglucosidase alfa/Placebo	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>		
N	65	30	RR	OR	ARR
Arthralgie (PT)	8 (12%)	4 (13%)	1,08 [0,339; 3,458] 0,8940	1,10 [0,285; 4,221] 0,8922	0,01 [-0,131; 0,151] 0,8907
Rueckenschme rzen (PT)	4 (6%)	5 (17%)	0,36 [0,097; 1,309] 0,1201	0,32 [0,077; 1,321] 0,1148	-0,11 [-0,251; 0,040] 0,1548
Muskulaere Schwaech (PT)	3 (5%)	4 (13%)	0,31 [0,069; 1,364] 0,1207	0,28 [0,058; 1,370] 0,1164	-0,09 [-0,229; 0,039] 0,1638
Myalgie (PT)	7 (11%)	4 (13%)	0,84 [0,248; 2,817] 0,7733	0,82 [0,210; 3,161] 0,7682	-0,02 [-0,162; 0,120] 0,7741
<b>Allgemeine Erkrankungen und Beschwerden am Verabreichun gsort (SOC)</b>	<b>19 (29%)</b>	<b>11 (37%)</b>	<b>0,79</b> <b>[0,440; 1,412]</b> <b>0,4242</b>	<b>0,69</b> <b>[0,273; 1,762]</b> <b>0,4421</b>	<b>-0,08</b> <b>[-0,284; 0,126]</b> <b>0,4484</b>
Asthenie (PT)	1 (2%)	3 (10%)	0,15 [0,012; 1,816] 0,1361	0,14 [0,013; 1,567] 0,1113	-0,08 [-0,189; 0,030] 0,1550
Ermuedung (PT)	5 (8%)	4 (13%)	0,49 [0,151; 1,623] 0,2452	0,43 [0,100; 1,837] 0,2534	-0,07 [-0,207; 0,064] 0,2992
<b>Untersuchung en (SOC)</b>	<b>10 (15%)</b>	<b>2 (7%)</b>	<b>2,93</b> <b>[0,662; 12,950]</b> <b>0,1566</b>	<b>3,79</b> <b>[0,641; 22,433]</b> <b>0,1415</b>	<b>0,11</b> <b>[-0,006; 0,229]</b> <b>0,0630</b>
<b>Verletzung, Vergiftung und durch Eingriffe bedingte Komplikation en (SOC)</b>	<b>23 (35%)</b>	<b>17 (57%)</b>	<b>0,63</b> <b>[0,387; 1,020]</b> <b>0,0599</b>	<b>0,44</b> <b>[0,180; 1,053]</b> <b>0,0650</b>	<b>-0,20</b> <b>[-0,420; 0,011]</b> <b>0,0628</b>

Studie PROPEL	Behandlungsarm		ATB200/AT2221 vs. Alglucosidase alfa/Placebo		
	ATB200/AT22 21	Alglucosidase alfa/Placebo	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>		
N	65	30	RR	OR	ARR
Sturz (PT)	16 (25%)	13 (43%)	0,57 [0,313; 1,045] 0,0695	0,42 [0,166; 1,087] 0,0740	-0,18 [-0,386; 0,023] 0,0816
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach dem Faktor „Baseline 6MWD“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>					

**Moderate UE****35.7.1.S.03****35.7.1.S.03.01.2. Moderate UE****35.7.1.S.03.01.2. Moderate UE: Analyse**

Studie PROPEL	Behandlungsarm		ATB200/AT2221 vs. Alglucosidase alfa/Placebo		
	ATB200/AT2221	Alglucosidase alfa/Placebo	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>		
N	65	30	RR	OR	ARR
<b>Moderate UE</b>					
n (%)	65 (100)	30 (100)	0,89 [0,599; 1,335]	0,78 [0,323; 1,900]	-0,06 [-0,274; 0,155]
Ja (%)	33 (51)	17 (57)	0,5845	0,5896	0,5877
Nein (%)	32 (49)	13 (43)			
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach dem Faktor „Baseline 6MWD“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>					



**35.7.1.S.03.02.2. Bei mindestens 10% der Patienten aufgetretene SOC und PT in Moderate UE nach SOC und PT: Analyse**

Studie PROPEL	Behandlungsarm		ATB200/AT2221 vs. Alglucosidase alfa/Placebo Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>		
	ATB200/AT2221	Alglucosidase alfa/Placebo	RR	OR	ARR
N	65	30			
<b>Bei mindestens 10% der Patienten aufgetretene SOC und PT in Moderate UE nach SOC und PT</b>					
<b>Infektionen und parasitäre Erkrankungen (SOC)</b>	15 (23%)	9 (30%)	<b>0,77</b> [0,379; 1,580] <b>0,4807</b>	<b>0,71</b> [0,266; 1,877] <b>0,4854</b>	<b>-0,07</b> [-0,263; 0,127] <b>0,4964</b>
Infektion der oberen Atemwege (PT)	1 (2%)	3 (10%)	0,14 [0,013; 1,447] 0,0986	0,13 [0,013; 1,321] 0,0848	-0,09 [-0,200; 0,025] 0,1288
<b>Erkrankungen des Nervensystems (SOC)</b>	7 (11%)	4 (13%)	<b>0,76</b> [0,245; 2,346] <b>0,6300</b>	<b>0,73</b> [0,195; 2,707] <b>0,6349</b>	<b>-0,03</b> [-0,179; 0,112] <b>0,6481</b>
<b>Erkrankungen des Gastrointestinaltrakts (SOC)</b>	6 (9%)	3 (10%)	<b>0,91</b> [0,223; 3,672] <b>0,8891</b>	<b>0,90</b> [0,199; 4,031] <b>0,8864</b>	<b>-0,01</b> [-0,136; 0,118] <b>0,8882</b>
<b>Skelettmuskulatur-, Bindegewebs- und Knochenerkrankungen (SOC)</b>	9 (14%)	3 (10%)	<b>1,36</b> [0,415; 4,436] <b>0,6139</b>	<b>1,40</b> [0,366; 5,383] <b>0,6211</b>	<b>0,04</b> [-0,105; 0,181] <b>0,6024</b>
<b>Verletzung, Vergiftung und durch Eingriffe bedingte Komplikationen (SOC)</b>	10 (15%)	4 (13%)	<b>1,17</b> [0,403; 3,397] <b>0,7731</b>	<b>1,21</b> [0,331; 4,438] <b>0,7718</b>	<b>0,02</b> [-0,125; 0,169] <b>0,7660</b>
Sturz (PT)	8 (12%)	2 (7%)	2,04 [0,434; 9,590] 0,3661	2,30 [0,405; 13,051] 0,3473	0,06 [-0,051; 0,177] 0,2804

Studie <b>PROPEL</b>	Behandlungsarm		ATB200/AT2221 vs. Alglucosidase alfa/Placebo		
	ATB200/AT22 <b>21</b>	Alglucosidase alfa/Placebo	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>		
<b>N</b>	<b>65</b>	<b>30</b>	<b>RR</b>	<b>OR</b>	<b>ARR</b>
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach dem Faktor „Baseline 6MWD“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>					

**Schwere UE****35.7.1.S.04****35.7.1.S.04.01.2. Schwere UE****35.7.1.S.04.01.2. Schwere UE: Analyse**

Studie PROPEL	Behandlungsarm		ATB200/AT2221 vs. Alglucosidase alfa/Placebo Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>		
	ATB200/AT22 21	Alglucosidase alfa/Placebo	RR	OR	ARR
N	65	30			
<b>Schwere UE</b>					
n (%)	65 (100)	30 (100)	1,83 [0,420; 7,987]	1,92 [0,394; 9,391]	0,06 [-0,067; 0,181]
Ja (%)	8 (12)	2 (7)	0,4207	0,4192	0,3663
Nein (%)	57 (88)	28 (93)			
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach dem Faktor „Baseline 6MWD“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>					

**Schwerwiegende unerwünschte Ereigniss (SUE)****35.7.1.S.05****35.7.1.S.05.01.2. SUE****35.7.1.S.05.01.2. SUE: Analyse**

Studie PROPEL	Behandlungsarm		ATB200/AT2221 vs. Alglucosidase alfa/Placebo		
	ATB200/AT22 21	Alglucosidase alfa/Placebo	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>		
N	65	30	RR	OR	ARR
<b>SUE</b>					
n (%)	65 (100)	30 (100)	2,81	2,95	0,06
Ja (%)	6 (9)	1 (3)	[0,393; 20,131]	[0,367; 23,737]	[-0,036; 0,165]
Nein (%)	59 (91)	29 (97)	0,3028	0,3092	0,2087
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach dem Faktor „Baseline 6MWD“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>					

**UE mit infusionsbedingten Reaktionen (IAR)****35.7.1.S.06****35.7.1.S.06.01.2. UE mit IAR****35.7.1.S.06.01.2. UE mit IAR: Analyse**

Studie PROPEL	Behandlungsarm		ATB200/AT2221 vs. Alglucosidase alfa/Placebo		
	ATB200/AT22 21	Alglucosidase alfa/Placebo	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>		
N	65	30	RR	OR	ARR
<b>UE mit IAR</b>					
n (%)	65 (100)	30 (100)	0,89	0,85	-0,03
Ja (%)	16 (25)	8 (27)	[0,433; 1,815]	[0,317; 2,280]	[-0,224; 0,162]
Nein (%)	49 (75)	22 (73)	0,7419	0,7468	0,7499
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach dem Faktor „Baseline 6MWD“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>					

**35.7.1.S.06.02.2. Milde UE mit IAR****35.7.1.S.06.02.2. Milde UE mit IAR: Analyse**

Studie PROPEL	Behandlungsarm		ATB200/AT2221 vs. Alglucosidase alfa/Placebo Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>		
	ATB200/AT2221	Alglucosidase alfa/Placebo	RR	OR	ARR
N	65	30			
<b>Milde UE mit IAR</b>					
n (%)	65 (100)	30 (100)	0,90 [0,412; 1,970]	0,87 [0,312; 2,447]	-0,02 [-0,209; 0,161]
Ja (%)	14 (22)	7 (23)	0,7933	0,7970	0,7995
Nein (%)	51 (78)	23 (77)			
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach dem Faktor „Baseline 6MWD“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>					

**35.7.1.S.06.03.2. Moderate UE mit IAR****35.7.1.S.06.03.2. Moderate UE mit IAR: Analyse**

Studie PROPEL	Behandlungsarm		ATB200/AT2221 vs. Alglucosidase alfa/Placebo Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>		
	ATB200/AT2221	Alglucosidase alfa/Placebo	RR	OR	ARR
N	65	30			
<b>Moderate UE mit IAR</b>					
n (%)	65 (100)	30 (100)	2,84	3,14	0,07
Ja (%)	7 (11)	1 (3)	[0,377; 21,329]	[0,361; 27,229]	[-0,033; 0,164]
Nein (%)	58 (89)	29 (97)	0,3110	0,3002	0,1950
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach dem Faktor „Baseline 6MWD“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>					

**35.7.1.S.06.04.2. Schwere UE mit IAR****35.7.1.S.06.04.2. Schwere UE mit IAR: Analyse**

Studie PROPEL	Behandlungsarm		ATB200/AT2221 vs. Aglucosidase alfa/Placebo Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>		
	ATB200/AT2221	Aglucosidase alfa/Placebo	RR	OR	ARR
N	65	30			
<b>Schwere UE mit IAR</b>					
n (%)	65 (100)	30 (100)	1,60	1,65	0,04
Ja (%)	3 (5)	0 (0)	[0,250; 10,249]	[0,235; 11,573]	[-0,006; 0,096]
Nein (%)	62 (95)	30 (100)	0,6192	0,6139	0,0865
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach dem Faktor „Baseline 6MWD“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>					



**35.7.1.S.06.05.2. SUE mit IAR****35.7.1.S.06.05.2. SUE mit IAR: Analyse**

Studie PROPEL	Behandlungsarm		ATB200/AT2221 vs. Aglucosidase alfa/Placebo Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>		
	ATB200/AT2221	Aglucosidase alfa/Placebo	RR	OR	ARR
N	65	30			
<b>SUE mit IAR</b>					
n (%)	65 (100)	30 (100)	0,98 [0,137; 6,965]	0,98 [0,119; 7,993]	0,02 [-0,015; 0,048]
Ja (%)	1 (2)	0 (0)	0,9827	0,9828	0,3030
Nein (%)	64 (98)	30 (100)			
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach dem Faktor „Baseline 6MWD“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>					

**Therapieabbrüche aufgrund von UE****35.7.1.S.07****35.7.1.S.07.01.2. Therapieabbrüche aufgrund von UE****35.7.1.S.07.01.2. Therapieabbrüche aufgrund von UE: Analyse**

Studie PROPEL	Behandlungsarm		ATB200/AT2221 vs. Alglucosidase alfa/Placebo		
	ATB200/AT22 21	Alglucosidase alfa/Placebo	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>		
N	65	30	RR	OR	ARR
<b>Therapieabbrüche aufgrund von UE</b>					
n (%)	65 (100)	30 (100)	0,86 [0,086; 8,632]	0,86 [0,078; 9,466]	-0,00 [-0,084; 0,074]
Ja (%)	2 (3)	1 (3)	0,8984	0,8999	0,9025
Nein (%)	63 (97)	29 (97)			
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach dem Faktor „Baseline 6MWD“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>					

**35.7.1.S.07.02.2. Alle SOC und PT in Therapieabbrüche aufgrund von UE nach SOC und PT****35.7.1.S.07.02.2. Alle SOC und PT in Therapieabbrüche aufgrund von UE nach SOC und PT: Analyse**

Studie PROPEL	Behandlungsarm		ATB200/AT2221 vs. Alglucosidase alfa/Placebo Effektmaß [95 %-KI] p-Wert <sup>a</sup>		
	ATB200/AT2221	Alglucosidase alfa/Placebo	RR	OR	ARR
N	65	30			
<b>Alle SOC und PT in Therapieabbrüche aufgrund von UE nach SOC und PT</b>					
<b>Erkrankungen des Immunsystems (SOC)</b>	1 (2%)	0 (0%)	<b>0,98</b> [0,137; 6,965] <b>0,9827</b>	<b>0,98</b> [0,119; 7,993] <b>0,9828</b>	<b>0,02</b> [-0,015; 0,048] <b>0,3030</b>
Anaphylaktoid e Reaktion (PT)	1 (2%)	0 (0%)	0,98 [0,137; 6,965] 0,9827	0,98 [0,119; 7,993] 0,9828	0,02 [-0,015; 0,048] 0,3030
<b>Erkrankungen des Nervensystems (SOC)</b>	<b>0 (0%)</b>	<b>1 (3%)</b>	<b>0,35</b> [0,054; 2,227] <b>0,2638</b>	<b>0,33</b> [0,042; 2,522] <b>0,2835</b>	<b>-0,04</b> [-0,102; 0,031] <b>0,2955</b>
Apoplektischer Insult (PT)	0 (0%)	1 (3%)	0,35 [0,054; 2,227] 0,2638	0,33 [0,042; 2,522] 0,2835	-0,04 [-0,102; 0,031] 0,2955
<b>Allgemeine Erkrankungen und Beschwerden am Verabreichungsort (SOC)</b>	1 (2%)	0 (0%)	<b>0,92</b> [0,123; 6,875] <b>0,9353</b>	<b>0,92</b> [0,110; 7,603] <b>0,9352</b>	<b>0,01</b> [-0,015; 0,043] <b>0,3435</b>
Schuettelfrost (PT)	1 (2%)	0 (0%)	0,92 [0,123; 6,875] 0,9353	0,92 [0,110; 7,603] 0,9352	0,01 [-0,015; 0,043] 0,3435
<p><sup>a</sup>RR, OR, ARR und die dazugehörigen 95 %-KI mit p-Wert nach dem CMH-Chi<sup>2</sup>-Hypothesentest wurden stratifiziert nach dem Faktor „Baseline 6MWD“ berechnet und dargestellt. Falls in einer der Vierfeldertafel der Strata eine Nullzelle auftrat, wurde entsprechend den methodischen Empfehlungen des IQWiG ein Korrekturwert von 0,5 auf jede der Zellen des Stratums addiert. Trat eine Nullzelle in jedem Strata auf, wird die Korrektur auf alle Strata angewendet. Traten zwei Nullzellen in einem Stratum auf, wurde aufgrund der mangelnden Aussagekraft von einer Analyse abgesehen.</p> <p>ARR: Absolute Risikoreduktion; ITT: Intention-to-Treat; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl der Patienten in der Population; n: Anzahl der Patienten in der Analyse; OR: Odds Ratio; RR: Relatives Risiko;</p>					