

Migalastat (Galafold®)

Amicus Therapeutics GmbH

Anhang 4-G zu Modul 4 A

*Behandlung von Erwachsenen und Jugendlichen ab
12 Jahren mit Morbus Fabry*

Stand: 15.08.2023

Inhaltsverzeichnis

Ergänzende Analysen BPI-SF	5
BPI-SF "stärkste Schmerzen"	5
BPI-SF "stärkste Schmerzen": Analyse	5
BPI-SF "stärkste Schmerzen" Graph: Veränderungen der Mittelwerte im Vergleich zu Baseline	7
BPI-SF "stärkste Schmerzen": Verbesserung um MID von 15 %	8
BPI-SF "stärkste Schmerzen": Verschlechterung um MID von 15 %	9
BPI-SF "geringste Schmerzen"	10
BPI-SF "geringste Schmerzen": Analyse	10
BPI-SF "geringste Schmerzen" Graph: Veränderungen der Mittelwerte im Vergleich zu Baseline	12
BPI-SF "geringste Schmerzen": Verbesserung um MID von 15 %	13
BPI-SF "geringste Schmerzen": Verschlechterung um MID von 15 %	14
BPI-SF "durchschnittliche Schmerzen"	15
BPI-SF "durchschnittliche Schmerzen": Analyse	15
BPI-SF "durchschnittliche Schmerzen" Graph: Veränderungen der Mittelwerte im Vergleich zu Baseline	17
BPI-SF "durchschnittliche Schmerzen": Verbesserung um MID von 15 %	18
BPI-SF "durchschnittliche Schmerzen": Verschlechterung um MID von 15 %	19
BPI-SF "im Moment"	20
BPI-SF "im Moment": Analyse	20
BPI-SF "im Moment" Graph: Veränderungen der Mittelwerte im Vergleich zu Baseline	22
BPI-SF "im Moment": Verbesserung um MID von 15 %	23
BPI-SF "im Moment": Verschlechterung um MID von 15 %	24
BPI-SF Composite Score von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline	25
BPI-SF Composite Score von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline: Analyse	25
BPI-SF Composite Score von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline Graph: Veränderungen der Mittelwerte im Vergleich zu Baseline	27
BPI-SF Composite Score von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline: Verbesserung um MID von 15 %	28
BPI-SF Composite Score von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline: Verschlechterung um MID von 15 %	29
BPI-SF von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline und "stärkste Schmerzen"	30
BPI-SF von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline und "stärkste Schmerzen": Analyse	30
BPI-SF von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline und "stärkste Schmerzen" Graph: Veränderungen der Mittelwerte im Vergleich zu Baseline... ..	32
BPI-SF von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline und "stärkste Schmerzen": Verbesserung um MID von 15 %	33
BPI-SF von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline und "stärkste Schmerzen": Verschlechterung um MID von 15 %	34

BPI-SF von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline und "geringste Schmerzen"	35
BPI-SF von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline und "geringste Schmerzen": Analyse	35
BPI-SF von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline und "geringste Schmerzen" Graph: Veränderungen der Mittelwerte im Vergleich zu Baseline...	37
BPI-SF von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline und "geringste Schmerzen": Verbesserung um MID von 15 %	38
BPI-SF von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline und "geringste Schmerzen": Verschlechterung um MID von 15 %	39
BPI-SF von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline und "durchschnittliche Schmerzen"	40
BPI-SF von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline und "durchschnittliche Schmerzen": Analyse	40
BPI-SF von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline und "durchschnittliche Schmerzen" Graph: Veränderungen der Mittelwerte im Vergleich zu Baseline.....	42
BPI-SF von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline und "durchschnittliche Schmerzen": Verbesserung um MID von 15 %	43
BPI-SF von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline und "durchschnittliche Schmerzen": Verschlechterung um MID von 15 %	44
BPI-SF von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline und "im Moment"	45
BPI-SF von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline und "im Moment": Analyse	45
BPI-SF von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline und "im Moment" Graph: Veränderungen der Mittelwerte im Vergleich zu Baseline	47
BPI-SF von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline und "im Moment": Verbesserung um MID von 15 %	48
BPI-SF von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline und "im Moment": Verschlechterung um MID von 15 %	49
Sensitivitätsanalysen SF-36v2 und BPI-SF	51
Sensitivitätsanalyse: SF-36v2 MCS	51
Sensitivitätsanalyse: SF-36v2 MCS: Analyse	51
Sensitivitätsanalyse: SF-36v2 MCS Graph: Veränderungen der Mittelwerte im Vergleich zu Baseline.....	53
Sensitivitätsanalyse: SF-36v2 PCS.....	54
Sensitivitätsanalyse: SF-36v2 PCS: Analyse.....	54
Sensitivitätsanalyse: SF-36v2 PCS Graph: Veränderungen der Mittelwerte im Vergleich zu Baseline.....	56
Sensitivitätsanalyse: BPI-SF Composite Score	57
Sensitivitätsanalyse: BPI-SF Composite Score: Analyse	57
Sensitivitätsanalyse: BPI-SF Composite Score Graph: Veränderungen der Mittelwerte im Vergleich zu Baseline	59
Sensitivitätsanalyse: BPI-SF "stärkste Schmerzen"	60
Sensitivitätsanalyse: BPI-SF "stärkste Schmerzen": Analyse	60
Sensitivitätsanalyse: BPI-SF "stärkste Schmerzen" Graph: Veränderungen der Mittelwerte im Vergleich zu Baseline	62
Sensitivitätsanalyse: BPI-SF "geringste Schmerzen"	63

Sensitivitätsanalyse: BPI-SF "geringste Schmerzen": Analyse.....	63
Sensitivitätsanalyse: BPI-SF "geringste Schmerzen" Graph: Veränderungen der Mittelwerte im Vergleich zu Baseline.....	65
Sensitivitätsanalyse: BPI-SF "durchschnittliche Schmerzen"	66
Sensitivitätsanalyse: BPI-SF "durchschnittliche Schmerzen": Analyse.....	66
Sensitivitätsanalyse: BPI-SF "durchschnittliche Schmerzen" Graph: Veränderungen der Mittelwerte im Vergleich zu Baseline.....	68
Sensitivitätsanalyse: BPI-SF "im Moment"	69
Sensitivitätsanalyse: BPI-SF "im Moment": Analyse	69
Sensitivitätsanalyse: BPI-SF "im Moment" Graph: Veränderungen der Mittelwerte im Vergleich zu Baseline	71
Ergänzende Analysen zur Sicherheit.....	73
Anzahl der Patienten mit mindestens einem UE nach SOC und PT	73
Anzahl der Patienten mit mindestens einem UE nach SOC und PT: Analyse	73
Anzahl der Patienten mit mindestens einem milden UE nach SOC und PT	78
Anzahl der Patienten mit mindestens einem milden UE nach SOC und PT: Analyse	78
Anzahl der Patienten mit mindestens einem moderaten UE nach SOC und PT	81
Anzahl der Patienten mit mindestens einem moderaten UE nach SOC und PT: Analyse	81
Anzahl der Patienten mit mindestens einem schweren UE nach SOC und PT	83
Anzahl der Patienten mit mindestens einem schweren UE nach SOC und PT: Analyse	83
Anzahl der Patienten mit mindestens einem SUE nach SOC und PT	84
Anzahl der Patienten mit mindestens einem SUE nach SOC und PT: Analyse.....	84

Anhang 4-G zu Modul 4 A

Ergänzende Analysen BPI-SF

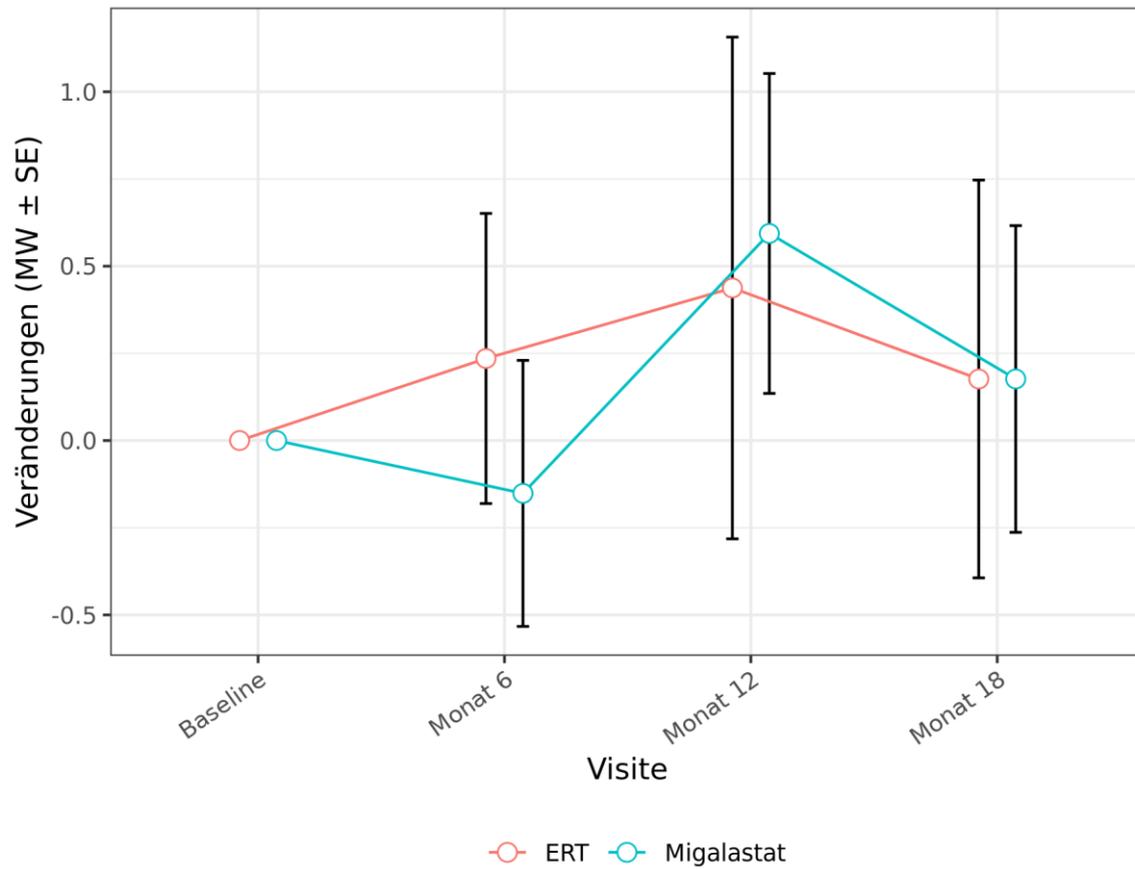
Ergänzende Analysen BPI-SF**BPI-SF "stärkste Schmerzen"****BPI-SF "stärkste Schmerzen": Analyse**

AT1001-012	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Migalastat	ERT	
N	34	17	-
BPI-SF "stärkste Schmerzen"			
Baseline			
n/N (%)	34/34 (100)	17/17 (100)	-
MW (SD)	1,91 (2,701)	2,65 (2,827)	
Änderung zu Monat 6			
n/N (%)	33/34 (97)	17/17 (100)	Hedges' g -0,18 [-0,770; 0,402] 0,5383
MW (SD)	-0,15 (2,224)	0,24 (1,715)	
LS MW (SE)	-0,23 (0,352)	0,39 (0,494)	LS MD -0,62 [-1,842; 0,601] 0,3117
95 %-KI	-0,943; 0,477	-0,608; 1,382	
Änderung zu Monat 12			
n/N (%)	32/34 (94)	16/17 (94)	Hedges' g 0,06 [-0,545; 0,656] 0,8564
MW (SD)	0,59 (2,674)	0,44 (2,966)	
LS MW (SE)	0,33 (0,441)	0,73 (0,626)	LS MD -0,41 [-1,955; 1,141] 0,5986
95 %-KI	-0,564; 1,215	-0,532; 1,996	
Änderung zu Monat 18			
n/N (%)	34/34 (100)	17/17 (100)	Hedges' g 0,00 [-0,582; 0,582] 1,0000
MW (SD)	0,18 (2,564)	0,18 (2,351)	
LS MW (SE)	0,01 (0,401)	0,43 (0,568)	LS MD

AT1001-012	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Migalastat	ERT	
N	34	17	-
95 %-KI	-0,798; 0,819	-0,709; 1,577	-0,42 [-1,817; 0,970] 0,5436
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

BPI-SF "stärkste Schmerzen" Graph: Veränderungen der Mittelwerte im Vergleich zu Baseline

35.11.1.07.04



BPI-SF "stärkste Schmerzen": Verbesserung um MID von 15 %

AT1001-012	Behandlungsarm		Migalastat vs. ERT		
	Migalastat	ERT	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
N	34	18	RR	OR	ARR
BPI-SF "stärkste Schmerzen": Verbesserung um MID von 15 %					
n (%)	34 (100)	18 (100)	1,23	1,32	0,05
Ja (%)	9 (26)	4 (22)	[0,417; 3,650]	[0,330; 5,265]	[-0,191; 0,289]
Nein (%)	25 (74)	14 (78)	0,7053	0,6961	0,6879
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

BPI-SF "stärkste Schmerzen": Verschlechterung um MID von 15 %

AT1001-012	Behandlungsarm		Migalastat vs. ERT		
	Migalastat	ERT	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
N	34	18	RR	OR	ARR
BPI-SF "stärkste Schmerzen": Verschlechterung um MID von 15 %					
n (%)	34 (100)	18 (100)	0,96 [0,457; 2,011]	0,93 [0,285; 3,065]	-0,02 [-0,295; 0,263]
Ja (%)	13 (38)	7 (39)	0,9117	0,9112	0,9114
Nein (%)	21 (62)	11 (61)			
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

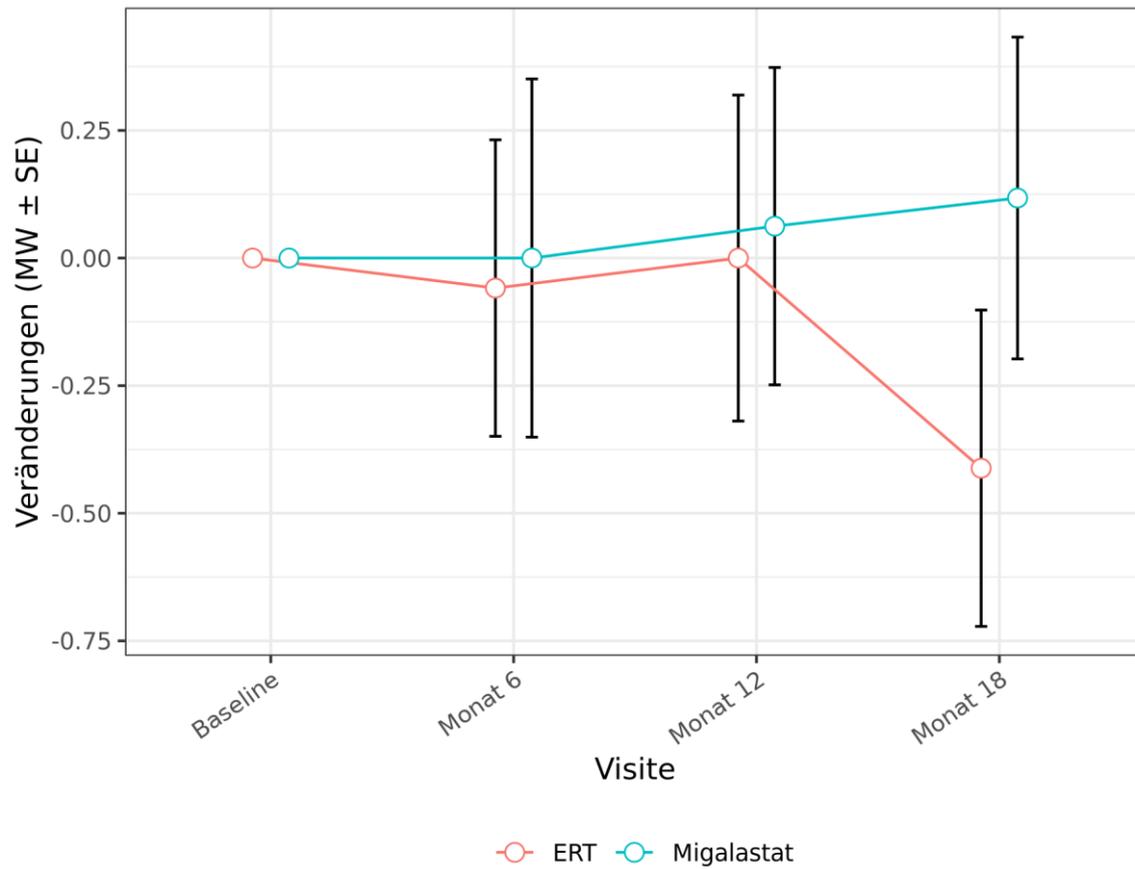
BPI-SF "geringste Schmerzen"**BPI-SF "geringste Schmerzen": Analyse**

AT1001-012	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Migalastat	ERT	
N	34	17	-
BPI-SF "geringste Schmerzen"			
Baseline			
n/N (%)	34/34 (100)	17/17 (100)	-
MW (SD)	0,74 (1,286)	1,24 (1,751)	
Änderung zu Monat 6			
n/N (%)	33/34 (97)	17/17 (100)	Hedges' g 0,03 [-0,553; 0,617] 0,9146
MW (SD)	0,00 (2,046)	-0,06 (1,197)	
LS MW (SE)	-0,11 (0,315)	0,04 (0,440)	LS MD -0,16 [-1,253; 0,940] 0,7750
95 %-KI	-0,750; 0,520	-0,846; 0,929	
Änderung zu Monat 12			
n/N (%)	32/34 (94)	16/17 (94)	Hedges' g 0,04 [-0,563; 0,637] 0,9042
MW (SD)	0,06 (1,813)	0,00 (1,317)	
LS MW (SE)	-0,09 (0,265)	0,09 (0,375)	LS MD -0,19 [-1,122; 0,746] 0,6864
95 %-KI	-0,628; 0,441	-0,663; 0,853	
Änderung zu Monat 18			
n/N (%)	34/34 (100)	17/17 (100)	Hedges' g 0,31 [-0,275; 0,897] 0,2979
MW (SD)	0,12 (1,838)	-0,41 (1,278)	
LS MW (SE)	0,06 (0,252)	-0,25 (0,355)	LS MD 0,30 [-0,576; 1,185] 0,4897
95 %-KI	-0,451; 0,564	-0,964; 0,468	

AT1001-012	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Migalastat	ERT	
N	34	17	-
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

BPI-SF "geringste Schmerzen" Graph: Veränderungen der Mittelwerte im Vergleich zu Baseline

35.11.1.07.07



BPI-SF "geringste Schmerzen": Verbesserung um MID von 15 %

AT1001-012	Behandlungsarm		Migalastat vs. ERT		
	Migalastat	ERT	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
N	34	18	RR	OR	ARR
BPI-SF "geringste Schmerzen": Verbesserung um MID von 15 %					
n (%)	34 (100)	18 (100)	1,68	1,93	0,07
Ja (%)	6 (18)	2 (11)	[0,375; 7,515]	[0,306; 12,214]	[-0,112; 0,255]
Nein (%)	28 (82)	16 (89)	0,4984	0,4836	0,4456
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

BPI-SF "geringste Schmerzen": Verschlechterung um MID von 15 %

AT1001-012	Behandlungsarm		Migalastat vs. ERT		
	Migalastat	ERT	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
N	34	18	RR	OR	ARR
BPI-SF "geringste Schmerzen": Verschlechterung um MID von 15 %					
n (%)	34 (100)	18 (100)	3,74	4,13	0,15
Ja (%)	7 (21)	1 (6)	[0,445; 31,455]	[0,472; 36,163]	[-0,030; 0,320]
Nein (%)	27 (79)	17 (94)	0,2248	0,2000	0,1033
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

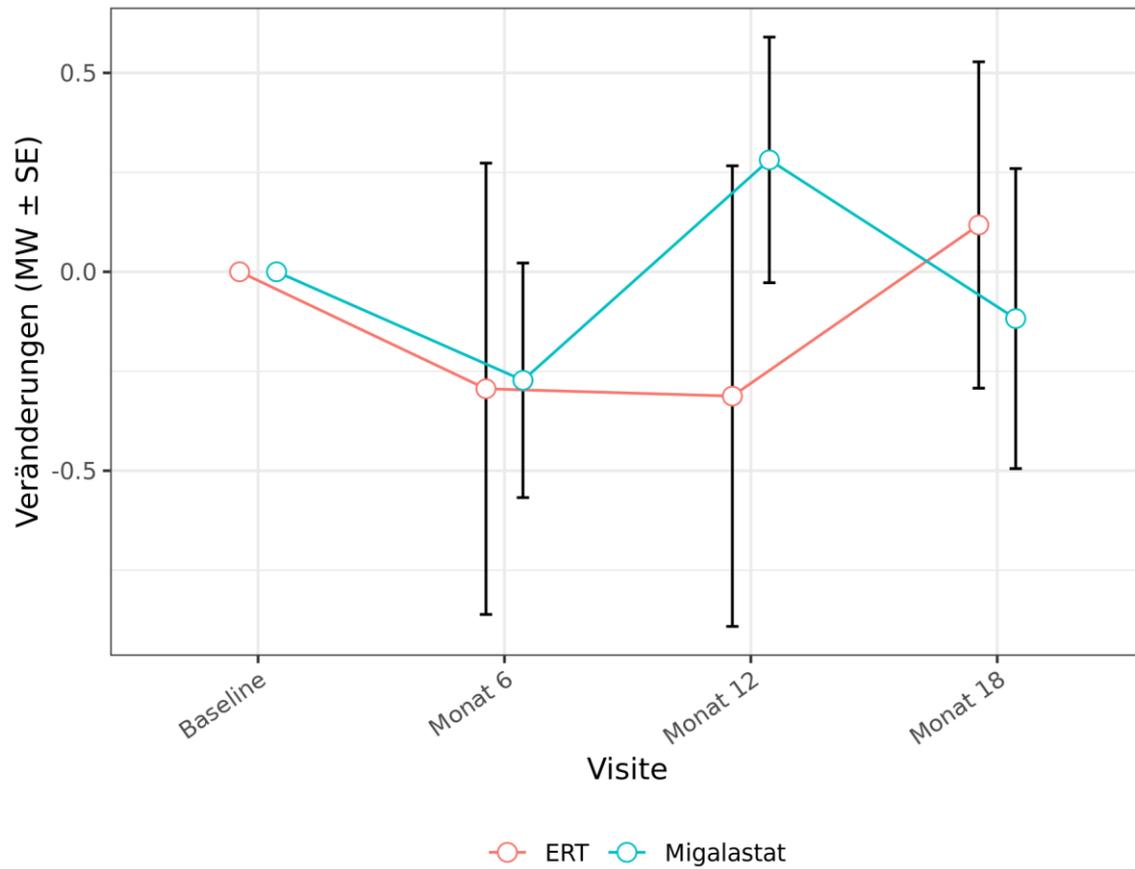
BPI-SF "durchschnittliche Schmerzen"**BPI-SF "durchschnittliche Schmerzen": Analyse**

AT1001-012	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Migalastat	ERT	
N	34	17	-
BPI-SF "durchschnittliche Schmerzen"			
Baseline			
n/N (%)	34/34 (100)	17/17 (100)	-
MW (SD)	1,62 (2,118)	2,59 (2,575)	
Änderung zu Monat 6			
n/N (%)	33/34 (97)	17/17 (100)	Hedges' g 0,01 [-0,574; 0,596] 0,9711
MW (SD)	-0,27 (1,719)	-0,29 (2,339)	
LS MW (SE)	-0,45 (0,319)	-0,03 (0,449)	LS MD -0,42 [-1,533; 0,695] 0,4523
95 %-KI	-1,093; 0,195	-0,934; 0,874	
Änderung zu Monat 12			
n/N (%)	32/34 (94)	16/17 (94)	Hedges' g 0,29 [-0,313; 0,894] 0,3452
MW (SD)	0,28 (1,800)	-0,31 (2,387)	
LS MW (SE)	-0,04 (0,306)	0,08 (0,437)	LS MD -0,11 [-1,199; 0,970] 0,8326
95 %-KI	-0,657; 0,578	-0,806; 0,956	
Änderung zu Monat 18			
n/N (%)	34/34 (100)	17/17 (100)	Hedges' g -0,11 [-0,696; 0,469] 0,7034
MW (SD)	-0,12 (2,199)	0,12 (1,691)	
LS MW (SE)	-0,32 (0,305)	0,40 (0,432)	LS MD -0,71 [-1,778; 0,351] 0,1839
95 %-KI	-0,930; 0,297	-0,472; 1,266	

AT1001-012	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Migalastat	ERT	
N	34	17	-
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

BPI-SF "durchschnittliche Schmerzen" Graph: Veränderungen der Mittelwerte im Vergleich zu Baseline

35.11.1.07.10



BPI-SF "durchschnittliche Schmerzen": Verbesserung um MID von 15 %

AT1001-012	Behandlungsarm		Migalastat vs. ERT Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
	Migalastat	ERT	RR	OR	ARR
N	34	18			
BPI-SF "durchschnittliche Schmerzen": Verbesserung um MID von 15 %					
n (%)	34 (100)	18 (100)	1,69 [0,490; 5,802]	1,91 [0,438; 8,326]	0,11 [-0,120; 0,337]
Ja (%)	9 (26)	3 (17)	0,4074	0,3887	0,3515
Nein (%)	25 (74)	15 (83)			
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

BPI-SF "durchschnittliche Schmerzen": Verschlechterung um MID von 15 %

AT1001-012	Behandlungsarm		Migalastat vs. ERT		
	Migalastat	ERT	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
N	34	18	RR	OR	ARR
BPI-SF "durchschnittliche Schmerzen": Verschlechterung um MID von 15 %					
n (%)	34 (100)	18 (100)	0,77 [0,329; 1,791]	0,69 [0,201; 2,370]	-0,08 [-0,350; 0,189]
Ja (%)	9 (26)	6 (33)	0,5408	0,5558	0,5601
Nein (%)	25 (74)	12 (67)			
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

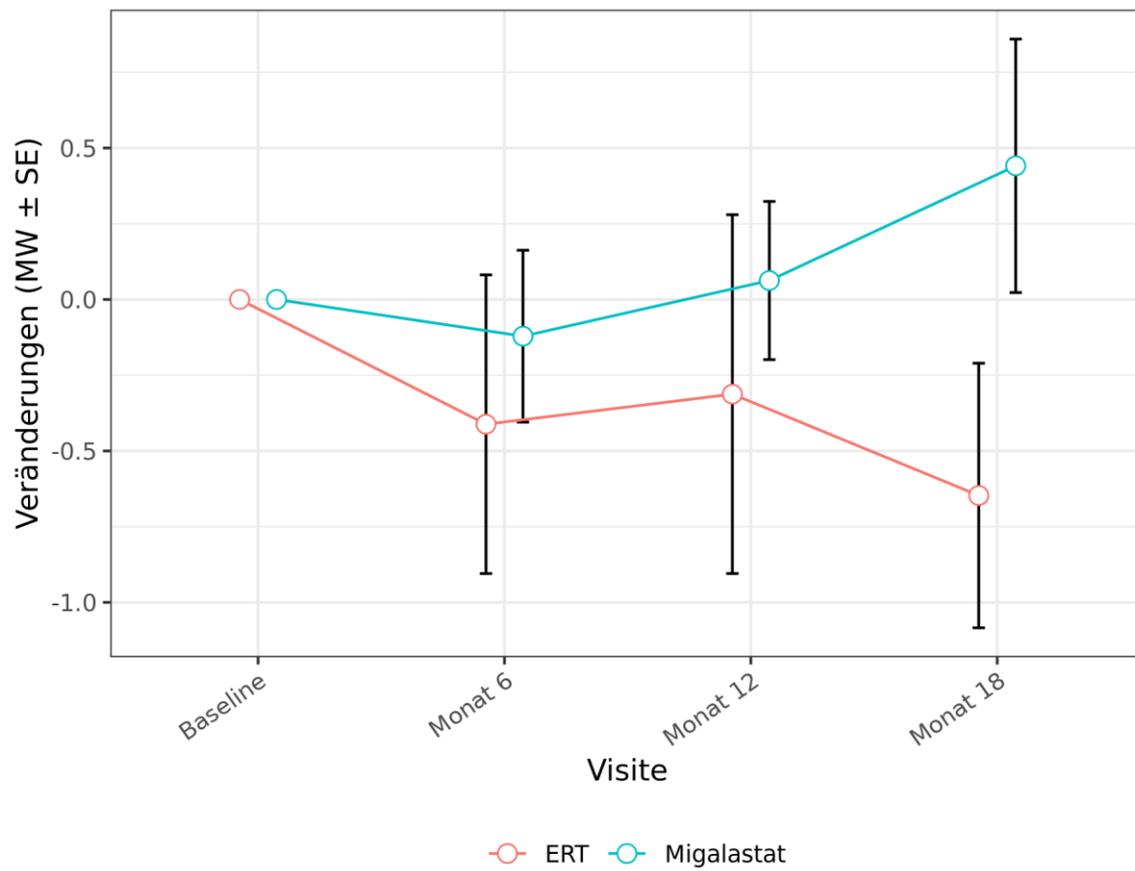
BPI-SF "im Moment"**BPI-SF "im Moment": Analyse**

AT1001-012	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Migalastat	ERT	
N	34	17	-
BPI-SF "im Moment"			
Baseline			
n/N (%)	34/34 (100)	17/17 (100)	-
MW (SD)	0,88 (1,737)	2,00 (2,574)	
Änderung zu Monat 6			
n/N (%)	33/34 (97)	17/17 (100)	Hedges' g 0,16 [-0,426; 0,746] 0,5929
MW (SD)	-0,12 (1,654)	-0,41 (2,033)	
LS MW (SE)	-0,39 (0,254)	-0,01 (0,354)	LS MD -0,37 [-1,263; 0,520] 0,4053
95 %-KI	-0,898; 0,126	-0,728; 0,699	
Änderung zu Monat 12			
n/N (%)	32/34 (94)	16/17 (94)	Hedges' g 0,20 [-0,405; 0,798] 0,5210
MW (SD)	0,06 (1,523)	-0,31 (2,442)	
LS MW (SE)	-0,25 (0,280)	0,18 (0,396)	LS MD -0,43 [-1,426; 0,571] 0,3924
95 %-KI	-0,813; 0,318	-0,619; 0,979	
Änderung zu Monat 18			
n/N (%)	34/34 (100)	17/17 (100)	Hedges' g 0,48 [-0,114; 1,066] 0,1138
MW (SD)	0,44 (2,439)	-0,65 (1,801)	
LS MW (SE)	0,23 (0,348)	-0,21 (0,489)	LS MD 0,44 [-0,784; 1,665] 0,4723
95 %-KI	-0,474; 0,929	-1,198; 0,772	

AT1001-012	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Migalastat	ERT	
N	34	17	-

Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.

BPI-SF "im Moment" Graph: Veränderungen der Mittelwerte im Vergleich zu Baseline
35.11.1.07.13



. BPI-SF "im Moment": Verbesserung um MID von 15 %

AT1001-012	Behandlungsarm		Migalastat vs. ERT		
	Migalastat	ERT	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
N	34	18	RR	OR	ARR
BPI-SF "im Moment": Verbesserung um MID von 15 %					
n (%)	34 (100)	18 (100)	0,77 [0,195; 3,046]	0,72 [0,129; 4,017]	-0,04 [-0,231; 0,159]
Ja (%)	4 (12)	3 (17)	0,7105	0,7082	0,7156
Nein (%)	30 (88)	15 (83)			
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

BPI-SF "im Moment": Verschlechterung um MID von 15 %

AT1001-012	Behandlungsarm		Migalastat vs. ERT Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
	Migalastat	ERT	RR	OR	ARR
N	34	18			
BPI-SF "im Moment": Verschlechterung um MID von 15 %					
n (%)	34 (100)	18 (100)	1,46 [0,412; 5,147]	1,59 [0,357; 7,101]	0,07 [-0,150; 0,294]
Ja (%)	8 (24)	3 (17)	0,5589	0,5423	0,5229
Nein (%)	26 (76)	15 (83)			
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

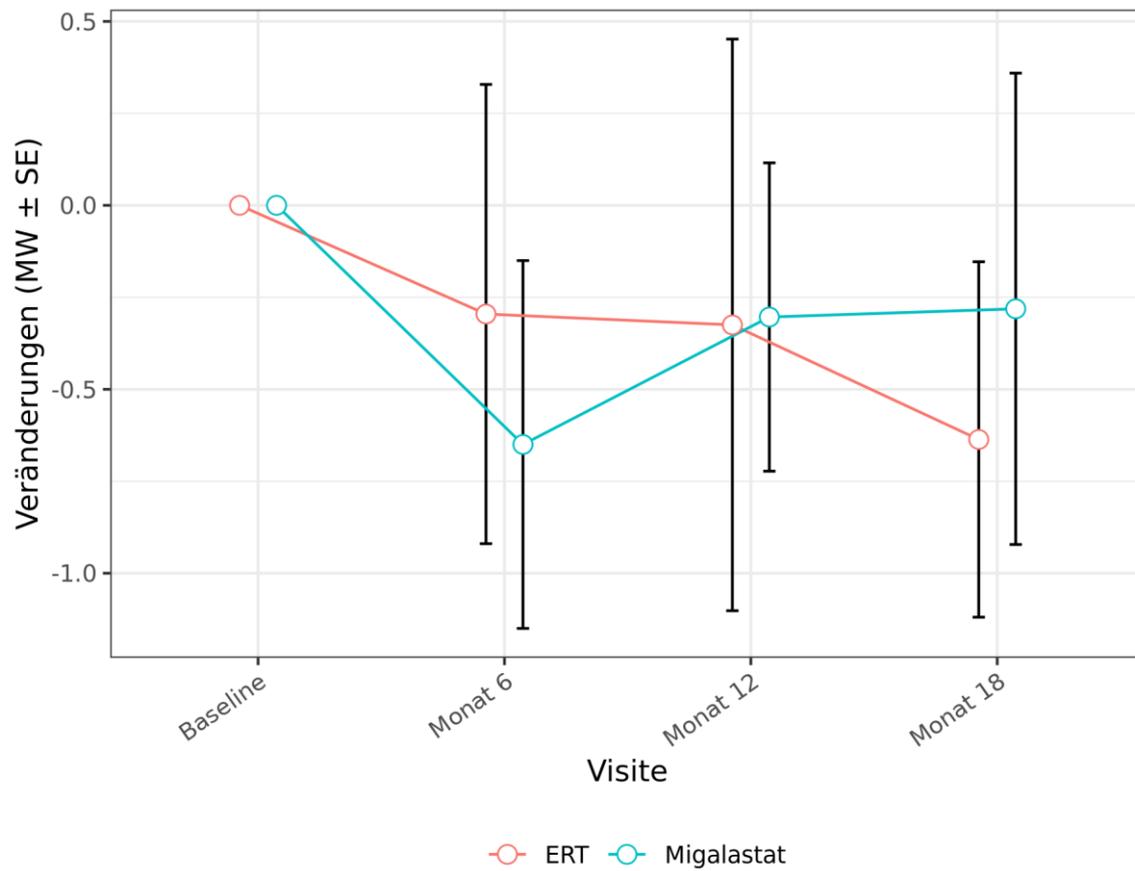
BPI-SF Composite Score von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline**BPI-SF Composite Score von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline:
Analyse**

AT1001-012	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Migalastat	ERT	
N	16	11	-
BPI-SF Composite Score von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline			
Baseline			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	-
MW (SD)	2,73 (1,684)	3,27 (2,063)	
Änderung zu Monat 6			
n/N (%)	15/16 (94)	11/11 (100)	Hedges' g -0,17 [-0,949; 0,610] 0,6706
MW (SD)	-0,65 (2,000)	-0,30 (2,070)	
LS MW (SE)	-0,74 (0,529)	0,05 (0,746)	LS MD -0,78 [-2,658; 1,093] 0,3945
95 %-KI	-1,838; 0,367	-1,509; 1,603	
Änderung zu Monat 12			
n/N (%)	14/16 (88)	10/11 (91)	Hedges' g 0,01 [-0,802; 0,821] 0,9809
MW (SD)	-0,30 (1,676)	-0,33 (2,577)	
LS MW (SE)	-0,70 (0,449)	-0,08 (0,651)	LS MD -0,62 [-2,250; 1,019] 0,4389
95 %-KI	-1,639; 0,247	-1,447; 1,287	
Änderung zu Monat 18			
n/N (%)	16/16 (100)	11/11 (100)	Hedges' g 0,15 [-0,614; 0,923] 0,6937
MW (SD)	-0,28 (2,562)	-0,64 (1,602)	
LS MW (SE)	-0,52 (0,544)	-0,14 (0,767)	LS MD -0,37 [-2,259; 1,519] 0,6876
95 %-KI	-1,647; 0,616	-1,740; 1,451	

AT1001-012	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Migalastat	ERT	
N	16	11	-
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

**BPI-SF Composite Score von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline
Graph: Veränderungen der Mittelwerte im Vergleich zu Baseline**

35.11.1.07.16



**BPI-SF Composite Score von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline:
Verbesserung um MID von 15 %**

AT1001-012	Behandlungsarm		Migalastat vs. ERT		
	Migalastat	ERT	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
N	34	18	RR	OR	ARR
BPI-SF Composite Score von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline: Verbesserung um MID von 15 %					
n (%)	34 (100)	18 (100)	1,51 [0,440; 5,162]	1,69 [0,368; 7,766]	0,08 [-0,139; 0,300]
Ja (%)	8 (24)	3 (17)	0,5139	0,5002	0,4735
Nein (%)	26 (76)	15 (83)			
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

**BPI-SF Composite Score von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline:
Verschlechterung um MID von 15 %**

AT1001-012	Behandlungsarm		Migalastat vs. ERT		
	Migalastat	ERT	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
N	34	18	RR	OR	ARR
BPI-SF Composite Score von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline: Verschlechterung um MID von 15 %					
n (%)	34 (100)	18 (100)	0,83 [0,188; 3,636]	0,81 [0,167; 3,938]	-0,03 [-0,238; 0,183]
Ja (%)	5 (15)	3 (17)	0,8012	0,7949	0,7984
Nein (%)	29 (85)	15 (83)			
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

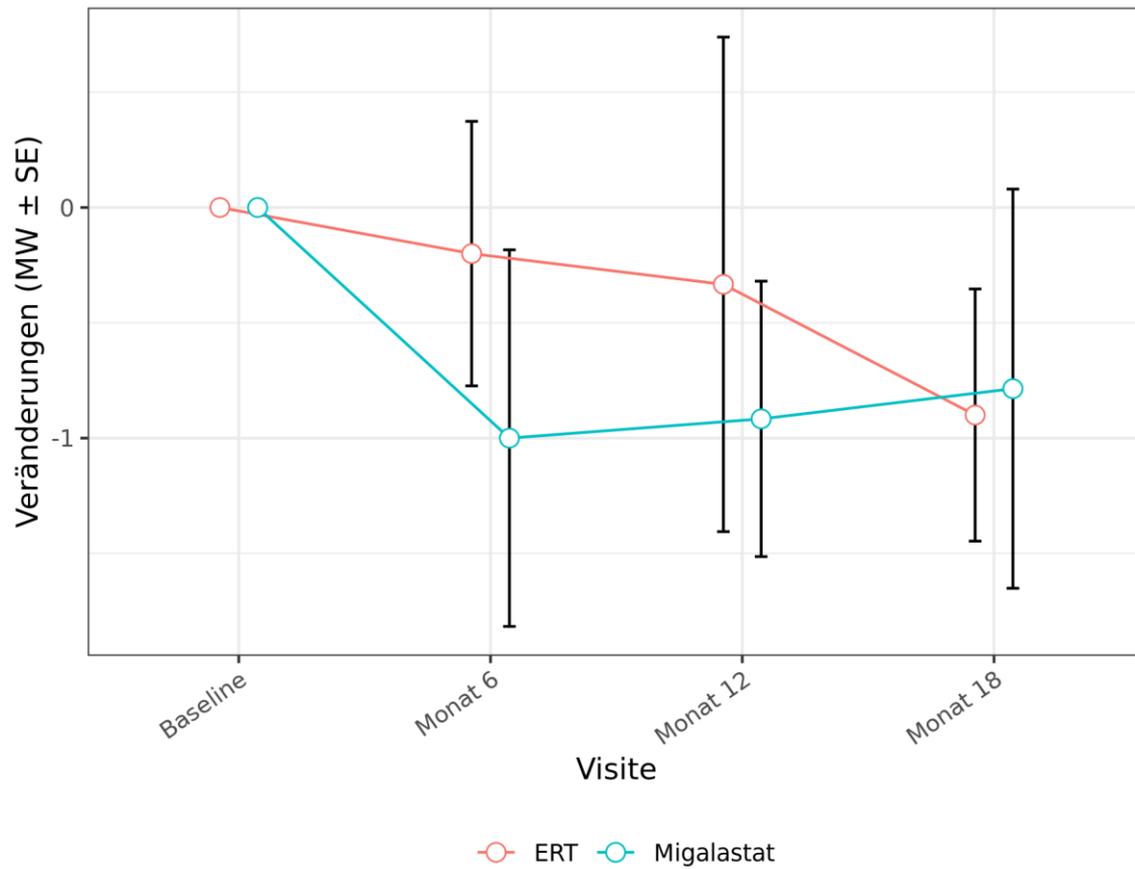
BPI-SF von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline und "stärkste Schmerzen"**BPI-SF von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline und "stärkste Schmerzen": Analyse**

AT1001-012	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Migalastat	ERT	
N	14	10	-
BPI-SF von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline und "stärkste Schmerzen"			
Baseline			
n/N (%)	14/14 (100)	10/10 (100)	-
MW (SD)	4,64 (2,205)	4,50 (2,224)	
Änderung zu Monat 6			
n/N (%)	13/14 (93)	10/10 (100)	Hedges' g -0,30 [-1,127; 0,533] 0,4831
MW (SD)	-1,00 (3,055)	-0,20 (1,814)	
LS MW (SE)	-0,89 (0,769)	-0,17 (1,140)	LS MD -0,72 [-3,532; 2,084] 0,5935
95 %-KI	-2,514; 0,733	-2,571; 2,238	
Änderung zu Monat 12			
n/N (%)	12/14 (86)	9/10 (90)	Hedges' g -0,20 [-1,068; 0,666] 0,6489
MW (SD)	-0,92 (2,234)	-0,33 (3,391)	
LS MW (SE)	-0,97 (0,747)	-0,11 (1,154)	LS MD -0,86 [-3,686; 1,968] 0,5271
95 %-KI	-2,557; 0,626	-2,566; 2,353	
Änderung zu Monat 18			
n/N (%)	14/14 (100)	10/10 (100)	Hedges' g 0,04 [-0,771; 0,852] 0,9221
MW (SD)	-0,79 (3,239)	-0,90 (1,729)	
LS MW (SE)	-0,87 (0,795)	-0,56 (1,194)	LS MD

AT1001-012	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Migalastat	ERT	
N	14	10	-
95 %-KI	-2,540; 0,800	-3,072; 1,946	-0,31 [-3,154; 2,539] 0,8232
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

BPI-SF von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline und "stärkste Schmerzen" Graph: Veränderungen der Mittelwerte im Vergleich zu Baseline

35.11.1.07.19



BPI-SF von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline und "stärkste Schmerzen": Verbesserung um MID von 15 %

AT1001-012	Behandlungsarm		Migalastat vs. ERT		
	Migalastat	ERT	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
N	34	18	RR	OR	ARR
BPI-SF von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline und "stärkste Schmerzen": Verbesserung um MID von 15 %					
n (%)	34 (100)	18 (100)	1,23 [0,417; 3,650]	1,32 [0,330; 5,265]	0,05 [-0,191; 0,289]
Ja (%)	9 (26)	4 (22)	0,7053	0,6961	0,6879
Nein (%)	25 (74)	14 (78)			
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

BPI-SF von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline und "stärkste Schmerzen": Verschlechterung um MID von 15 %

AT1001-012	Behandlungsarm		Migalastat vs. ERT		
	Migalastat	ERT	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
N	34	18	RR	OR	ARR
BPI-SF von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline und "stärkste Schmerzen": Verschlechterung um MID von 15 %					
n (%)	34 (100)	18 (100)	0,60 [0,145; 2,487]	0,59 [0,141; 2,439]	-0,08 [-0,320; 0,151]
Ja (%)	5 (15)	4 (22)	0,4809	0,4630	0,4812
Nein (%)	29 (85)	14 (78)			
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

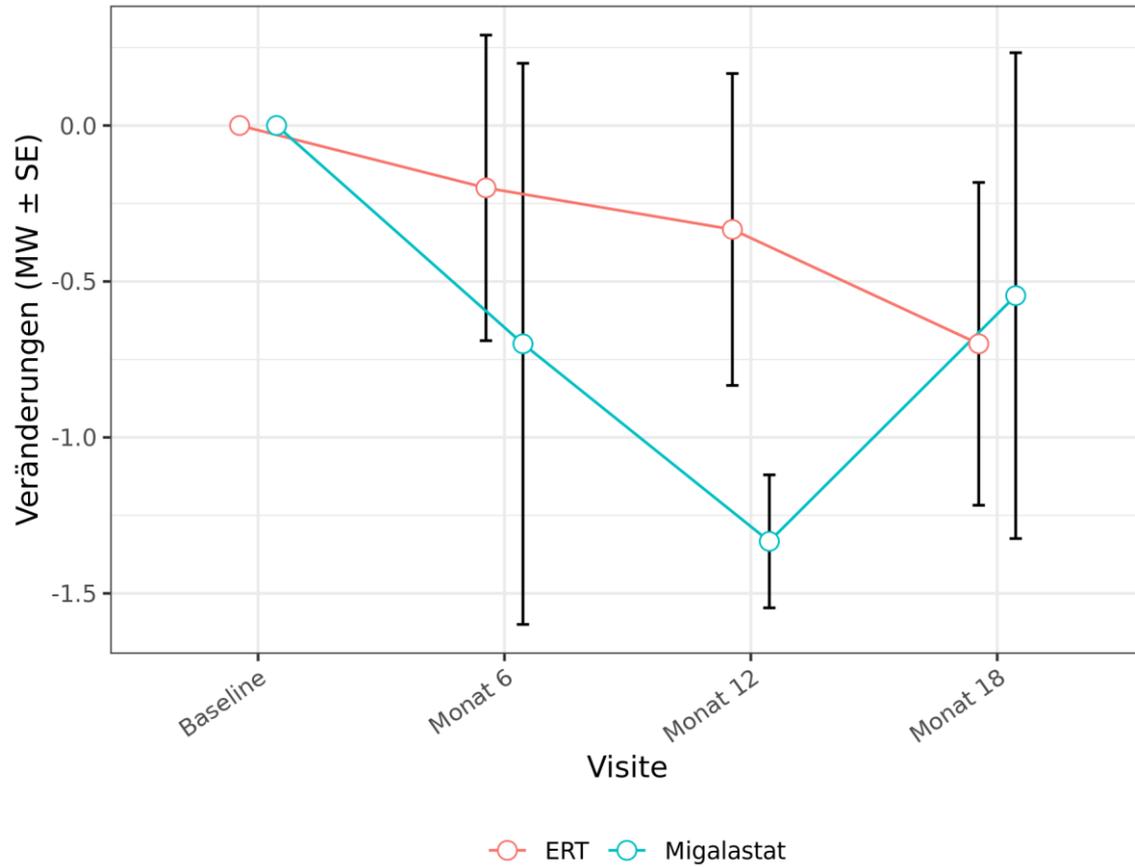
BPI-SF von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline und "geringste Schmerzen"**BPI-SF von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline und "geringste Schmerzen": Analyse**

AT1001-012	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Migalastat	ERT	
N	11	10	-
BPI-SF von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline und "geringste Schmerzen"			
Baseline			
n/N (%)	11/11 (100)	10/10 (100)	-
MW (SD)	2,27 (1,272)	2,10 (1,853)	
Änderung zu Monat 6			
n/N (%)	10/11 (91)	10/10 (100)	Hedges' g -0,20 [-1,081; 0,678] 0,6534
MW (SD)	-0,70 (2,983)	-0,20 (1,549)	
LS MW (SE)	-0,53 (0,876)	-0,04 (1,017)	LS MD -0,49 [-3,185; 2,197] 0,6996
95 %-KI	-2,411; 1,347	-2,219; 2,143	
Änderung zu Monat 12			
n/N (%)	9/11 (82)	9/10 (90)	Hedges' g -0,78 [-1,744; 0,189] 0,1150
MW (SD)	-1,33 (0,707)	-0,33 (1,581)	
LS MW (SE)	-1,24 (0,381)	-0,58 (0,463)	LS MD -0,66 [-1,875; 0,559] 0,2615
95 %-KI	-2,071; -0,409	-1,591; 0,427	
Änderung zu Monat 18			
n/N (%)	11/11 (100)	10/10 (100)	Hedges' g 0,07 [-0,789; 0,925] 0,8766
MW (SD)	-0,55 (2,583)	-0,70 (1,636)	
LS MW (SE)	-0,51 (0,628)	-0,14 (0,728)	LS MD

AT1001-012	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Migalastat	ERT	
N	11	10	-
95 %-KI	-1,851; 0,827	-1,688; 1,417	-0,38 [-2,263; 1,511] 0,6772
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

BPI-SF von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline und "geringste Schmerzen" Graph: Veränderungen der Mittelwerte im Vergleich zu Baseline

35.11.1.07.22



BPI-SF von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline und "geringste Schmerzen": Verbesserung um MID von 15 %

AT1001-012	Behandlungsarm		Migalastat vs. ERT		
	Migalastat	ERT	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
N	34	18	RR	OR	ARR
BPI-SF von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline und "geringste Schmerzen": Verbesserung um MID von 15 %					
n (%)	34 (100)	18 (100)	1,68	1,93	0,07
Ja (%)	6 (18)	2 (11)	[0,375; 7,515]	[0,306; 12,214]	[-0,112; 0,255]
Nein (%)	28 (82)	16 (89)	0,4984	0,4836	0,4456
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

BPI-SF von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline und "geringste Schmerzen": Verschlechterung um MID von 15 %

AT1001-012	Behandlungsarm		Migalastat vs. ERT		
	Migalastat	ERT	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
N	34	18	RR	OR	ARR
BPI-SF von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline und "geringste Schmerzen": Verschlechterung um MID von 15 %					
n (%)	34 (100)	18 (100)	1,33	1,38	0,08
Ja (%)	3 (9)	0 (0)	[0,277; 6,397]	[0,239; 7,999]	[-0,015; 0,167]
Nein (%)	31 (91)	18 (100)	0,7220	0,7178	0,1004
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

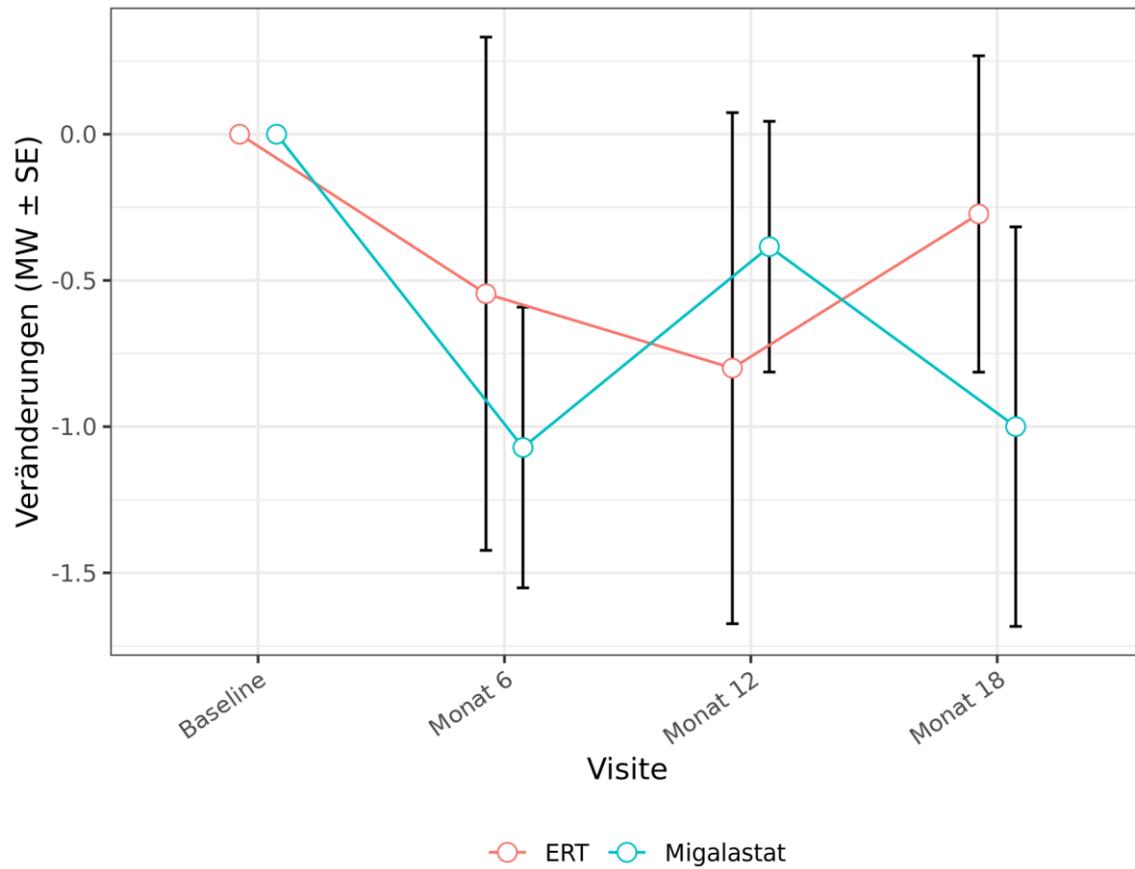
BPI-SF von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline und "durchschnittliche Schmerzen"**BPI-SF von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline und "durchschnittliche Schmerzen": Analyse**

AT1001-012	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Migalastat	ERT	
N	15	11	-
BPI-SF von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline und "durchschnittliche Schmerzen"			
Baseline			
n/N (%)	15/15 (100)	11/11 (100)	-
MW (SD)	3,67 (1,589)	4,00 (2,098)	
Änderung zu Monat 6			
n/N (%)	14/15 (93)	11/11 (100)	Hedges' g -0,21 [-1,007; 0,578] 0,5962
MW (SD)	-1,07 (1,859)	-0,55 (2,911)	
LS MW (SE)	-1,14 (0,622)	-0,05 (0,856)	LS MD -1,09 [-3,282; 1,109] 0,3133
95 %-KI	-2,438; 0,168	-1,840; 1,743	
Änderung zu Monat 12			
n/N (%)	13/15 (87)	10/11 (91)	Hedges' g 0,18 [-0,650; 1,002] 0,6764
MW (SD)	-0,38 (1,660)	-0,80 (2,898)	
LS MW (SE)	-0,79 (0,493)	-0,78 (0,691)	LS MD -0,00 [-1,786; 1,781] 0,9978
95 %-KI	-1,825; 0,254	-2,242; 0,676	
Änderung zu Monat 18			
n/N (%)	15/15 (100)	11/11 (100)	Hedges' g -0,30 [-1,085; 0,481] 0,4491
MW (SD)	-1,00 (2,646)	-0,27 (1,794)	
LS MW (SE)	-1,19 (0,551)	0,11 (0,761)	LS MD

AT1001-012	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Migalastat	ERT	
N	15	11	-
95 %-KI	-2,337; -0,037	-1,477; 1,698	-1,30 [-3,203; 0,608] 0,1708
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

BPI-SF von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline und "durchschnittliche Schmerzen" Graph: Veränderungen der Mittelwerte im Vergleich zu Baseline

35.11.1.07.25



BPI-SF von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline und "durchschnittliche Schmerzen": Verbesserung um MID von 15 %

AT1001-012	Behandlungsarm		Migalastat vs. ERT		
	Migalastat	ERT	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
N	34	18	RR	OR	ARR
BPI-SF von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline und "durchschnittliche Schmerzen": Verbesserung um MID von 15 %					
n (%)	34 (100)	18 (100)	1,69 [0,490; 5,802]	1,91 [0,438; 8,326]	0,11 [-0,120; 0,337]
Ja (%)	9 (26)	3 (17)	0,4074	0,3887	0,3515
Nein (%)	25 (74)	15 (83)			
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

BPI-SF von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline und "durchschnittliche Schmerzen": Verschlechterung um MID von 15 %

AT1001-012	Behandlungsarm		Migalastat vs. ERT		
	Migalastat	ERT	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
N	34	18	RR	OR	ARR
BPI-SF von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline und "durchschnittliche Schmerzen": Verschlechterung um MID von 15 %					
n (%)	34 (100)	18 (100)	0,49 [0,126; 1,917]	0,46 [0,101; 2,063]	-0,11 [-0,341; 0,114]
Ja (%)	4 (12)	4 (22)	0,3063	0,3080	0,3290
Nein (%)	30 (88)	14 (78)			
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

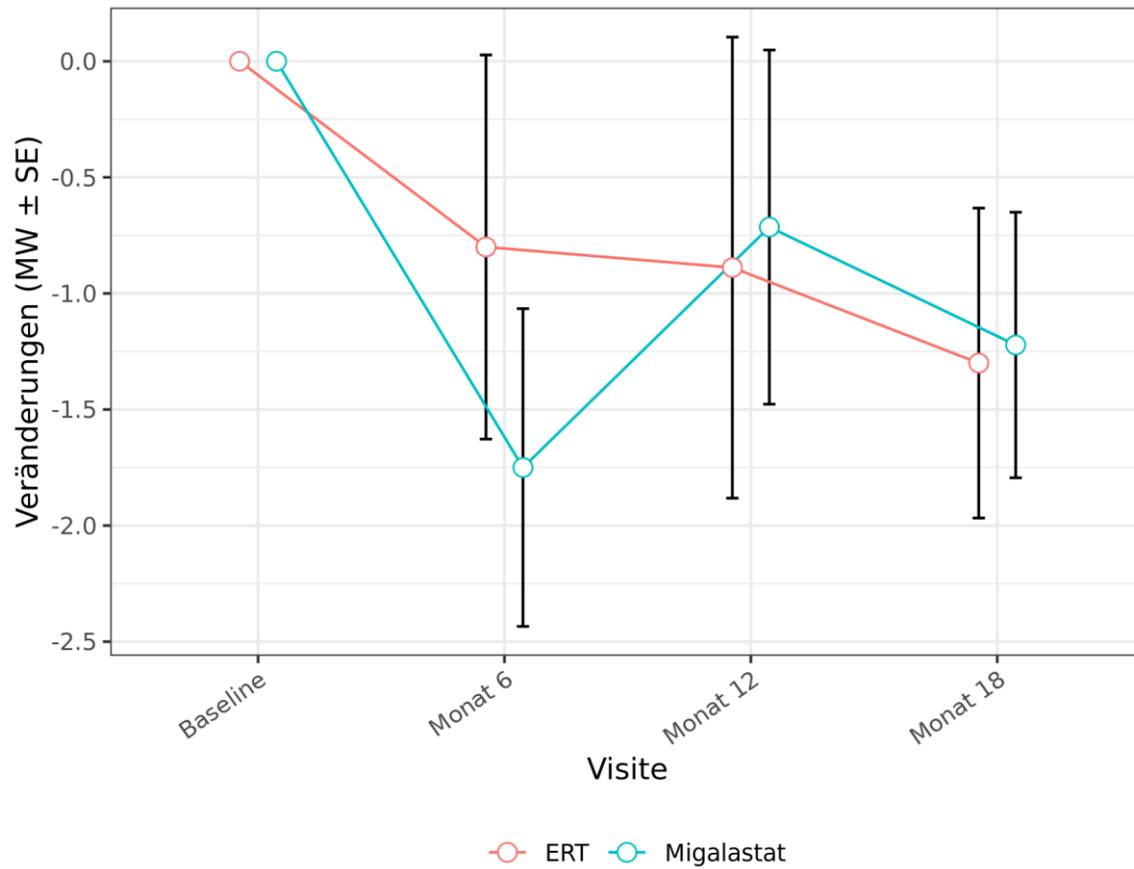
BPI-SF von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline und "im Moment"**BPI-SF von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline und "im Moment":
Analyse**

AT1001-012	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Migalastat	ERT	
N	9	10	-
BPI-SF von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline und "im Moment"			
Baseline			
n/N (%)	9/9 (100)	10/10 (100)	-
MW (SD)	3,33 (1,803)	3,40 (2,547)	
Änderung zu Monat 6			
n/N (%)	8/9 (89)	10/10 (100)	Hedges' g -0,38 [-1,319; 0,561] 0,4293
MW (SD)	-1,75 (2,053)	-0,80 (2,616)	
LS MW (SE)	-2,28 (0,716)	-0,70 (0,720)	LS MD -1,58 [-3,604; 0,442] 0,1144
95 %-KI	-3,841; -0,722	-2,271; 0,869	
Änderung zu Monat 12			
n/N (%)	7/9 (78)	9/10 (90)	Hedges' g 0,06 [-0,929; 1,047] 0,9071
MW (SD)	-0,71 (2,289)	-0,89 (3,140)	
LS MW (SE)	-1,18 (0,889)	-1,35 (0,922)	LS MD 0,17 [-2,389; 2,727] 0,8861
95 %-KI	-3,166; 0,796	-3,407; 0,701	
Änderung zu Monat 18			
n/N (%)	9/9 (100)	10/10 (100)	Hedges' g 0,04 [-0,862; 0,939] 0,9334
MW (SD)	-1,22 (1,716)	-1,30 (2,111)	
LS MW (SE)	-1,45 (0,654)	-1,18 (0,660)	LS MD -0,27 [-2,074; 1,528] 0,7487
95 %-KI	-2,866; -0,041	-2,607; 0,246	

AT1001-012	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Migalastat	ERT	
N	9	10	-
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

BPI-SF von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline und "im Moment"
Graph: Veränderungen der Mittelwerte im Vergleich zu Baseline

35.11.1.07.28



**BPI-SF von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline und "im Moment":
Verbesserung um MID von 15 %**

AT1001-012	Behandlungsarm		Migalastat vs. ERT		
	Migalastat	ERT	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
N	34	18	RR	OR	ARR
BPI-SF von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline und "im Moment": Verbesserung um MID von 15 %					
n (%)	34 (100)	18 (100)	0,77 [0,195; 3,046]	0,72 [0,129; 4,017]	-0,04 [-0,231; 0,159]
Ja (%)	4 (12)	3 (17)	0,7105	0,7082	0,7156
Nein (%)	30 (88)	15 (83)			
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

BPI-SF von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline und "im Moment": Verschlechterung um MID von 15 %

AT1001-012	Behandlungsarm		Migalastat vs. ERT		
	Migalastat	ERT	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
N	34	18	RR	OR	ARR
BPI-SF von Patienten mit erhöhten Schmerzen (> 0) zu Baseline und "im Moment": Verschlechterung um MID von 15 %					
n (%)	34 (100)	18 (100)	0,31 [0,028; 3,511]	0,31 [0,029; 3,406]	-0,07 [-0,231; 0,087]
Ja (%)	1 (3)	2 (11)	0,3475	0,3414	0,3732
Nein (%)	33 (97)	16 (89)			
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

Anhang 4-G zu Modul 4 A

Sensitivitätsanalysen SF-36v2 und BPI-SF

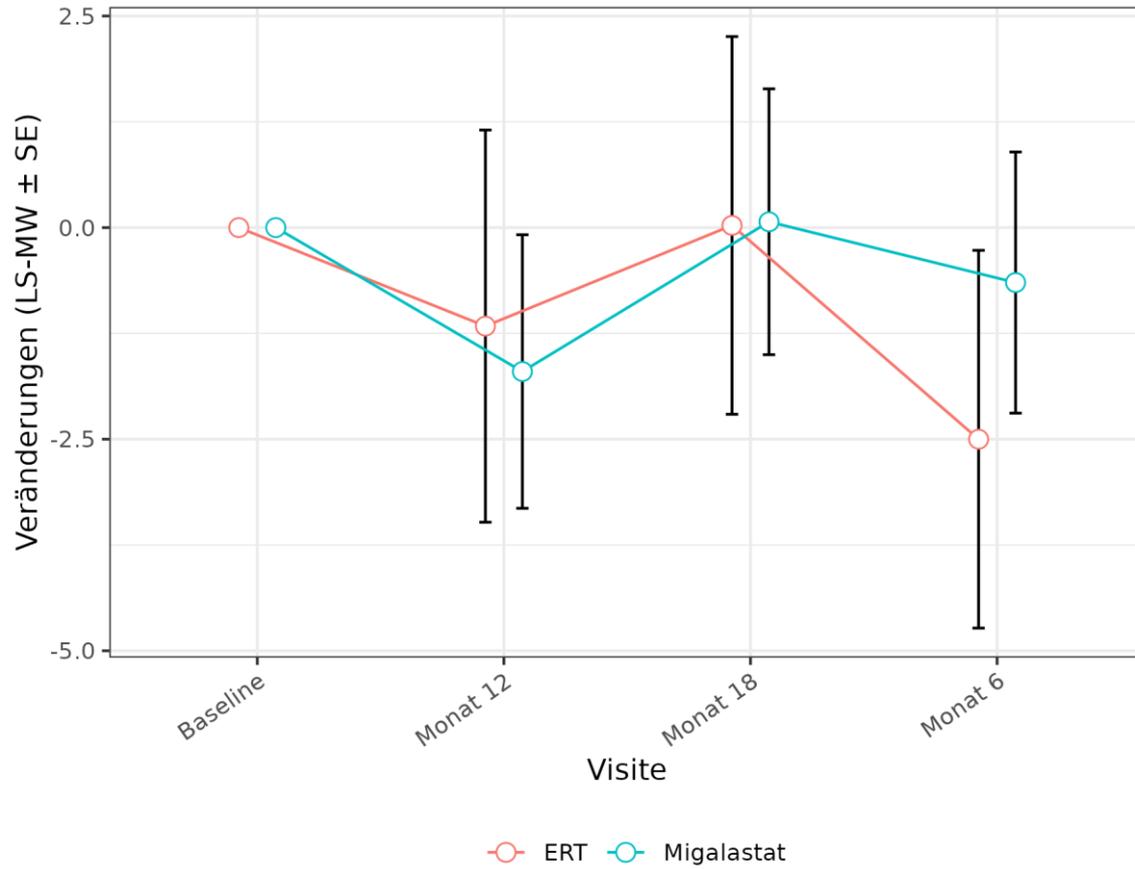
Sensitivitätsanalysen SF-36v2 und BPI-SF**Sensitivitätsanalyse: SF-36v2 MCS****Sensitivitätsanalyse: SF-36v2 MCS: Analyse**

AT1001-012	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Migalastat	ERT	
N	34	16	-
Sensitivitätsanalyse: SF-36v2 MCS			
Baseline			
n/N (%)	34/34 (100)	16/16 (100)	-
MW (SD)	49,26 (10,583)	50,60 (10,296)	
Änderung zu Monat 6			
n/N (%)	33/34 (97)	16/16 (100)	Hedges' g 0,21 [-0,394; 0,804] 0,5019
MW (SD)	-0,46 (10,076)	-2,93 (7,031)	
LS MW (SE)	-0,65 (1,543)	-2,50 (2,231)	LS MD 1,85 [-3,543; 7,246] 0,4963
95 %-KI	-3,723; 2,424	-6,947; 1,947	
Änderung zu Monat 12			
n/N (%)	28/34 (82)	14/16 (88)	Hedges' g -0,06 [-0,703; 0,580] 0,8516
MW (SD)	-1,72 (8,949)	-1,23 (7,481)	
LS MW (SE)	-1,70 (1,616)	-1,16 (2,317)	LS MD -0,54 [-6,138; 5,066] 0,8494
95 %-KI	-4,914; 1,513	-5,774; 3,446	
Änderung zu Monat 18			
n/N (%)	31/34 (91)	16/16 (100)	Hedges' g 0,00 [-0,599; 0,608] 0,9876
MW (SD)	0,08 (9,171)	-0,41 (7,269)	
LS MW (SE)	0,07 (1,570)	0,03 (2,231)	LS MD 0,04
95 %-KI	-3,058; 3,195	-4,421; 4,473	

AT1001-012	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Migalastat	ERT	
N	34	16	-
			[-5,379; 5,464] 0,9875
<p><i>Hedges' g basiert auf LS Means</i></p> <p><i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i></p>			

Sensitivitätsanalyse: SF-36v2 MCS Graph: Veränderungen der Mittelwerte im Vergleich zu Baseline

35.11.1.08.01



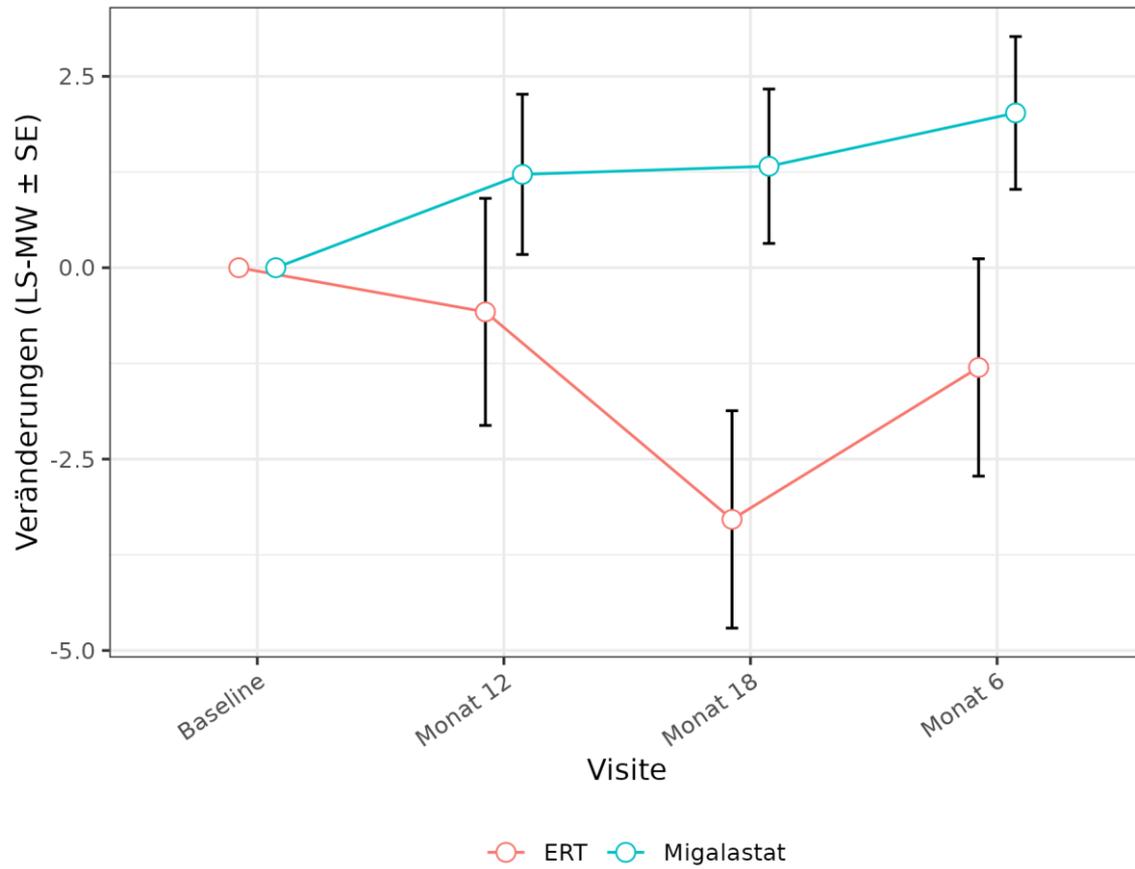
Sensitivitätsanalyse: SF-36v2 PCS**Sensitivitätsanalyse: SF-36v2 PCS: Analyse**

AT1001-012	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Migalastat	ERT	
N	34	16	-
Sensitivitätsanalyse: SF-36v2 PCS			
Baseline			
n/N (%)	34/34 (100)	16/16 (100)	-
MW (SD)	47,81 (10,805)	40,45 (10,646)	
Änderung zu Monat 6			
n/N (%)	33/34 (97)	16/16 (100)	Hedges' g 0,57 [-0,036; 1,181] 0,0653
MW (SD)	1,42 (5,664)	0,06 (4,644)	
LS MW (SE)	2,02 (0,998)	-1,30 (1,420)	LS MD 3,33 [-0,207; 6,857] 0,0646
95 %-KI	0,036; 4,009	-4,130; 1,524	
Änderung zu Monat 12			
n/N (%)	28/34 (82)	14/16 (88)	Hedges' g 0,32 [-0,327; 0,964] 0,3342
MW (SD)	1,14 (6,076)	0,73 (4,825)	
LS MW (SE)	1,22 (1,047)	-0,58 (1,483)	LS MD 1,80 [-1,887; 5,481] 0,3350
95 %-KI	-0,861; 3,300	-3,525; 2,371	
Änderung zu Monat 18			
n/N (%)	31/34 (91)	16/16 (100)	Hedges' g 0,80 [0,178; 1,432] 0,0118
MW (SD)	0,96 (5,349)	-1,92 (8,918)	
LS MW (SE)	1,33 (1,008)	-3,29 (1,420)	LS MD 4,61
95 %-KI	-0,681; 3,332	-6,115; -0,461	

AT1001-012	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Migalastat	ERT	
N	34	16	-
			[1,081; 8,146] 0,0111
<p><i>Hedges' g basiert auf LS Means</i></p> <p><i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i></p>			

Sensitivitätsanalyse: SF-36v2 PCS Graph: Veränderungen der Mittelwerte im Vergleich zu Baseline

35.11.1.08.02



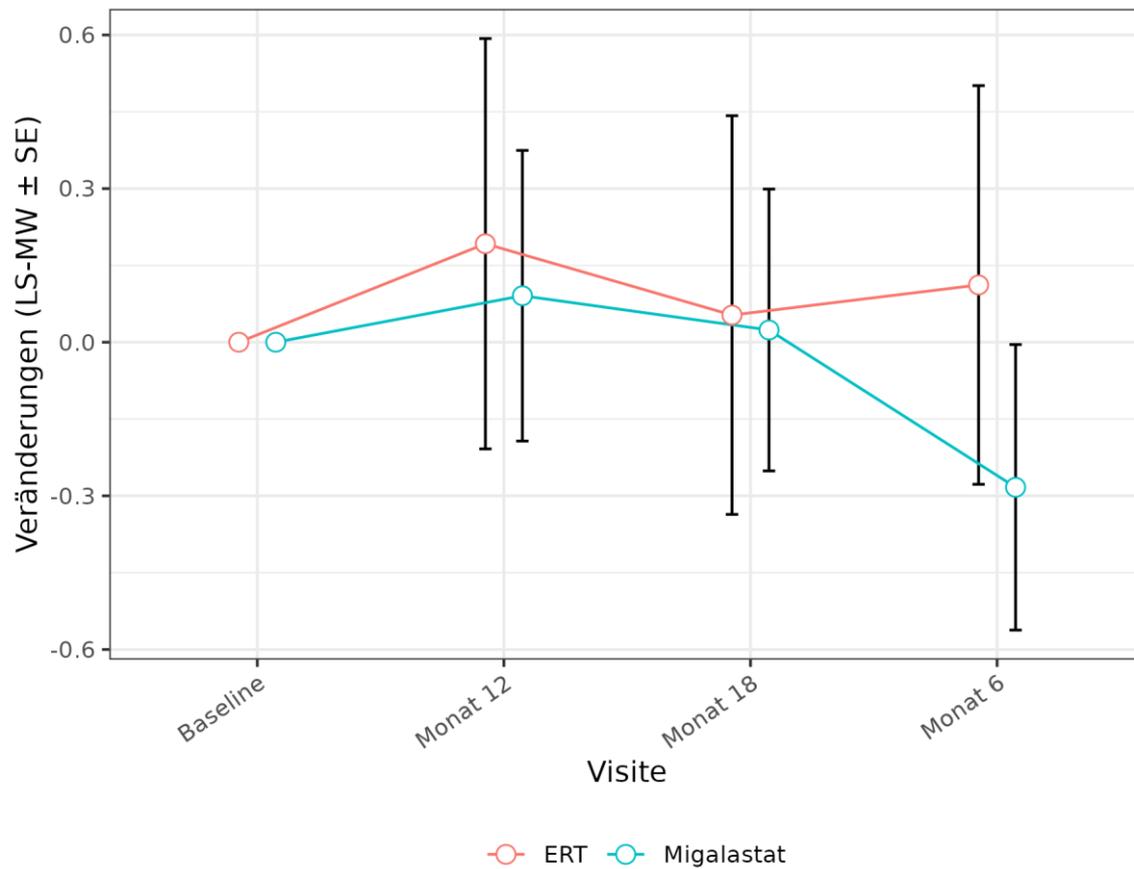
Sensitivitätsanalyse: BPI-SF Composite Score**Sensitivitätsanalyse: BPI-SF Composite Score: Analyse**

AT1001-012	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Migalastat	ERT	
N	34	17	-
Sensitivitätsanalyse: BPI-SF Composite Score			
Baseline			
n/N (%)	34/34 (100)	17/17 (100)	-
MW (SD)	1,29 (1,791)	2,12 (2,293)	
Änderung zu Monat 6			
n/N (%)	33/34 (97)	17/17 (100)	Hedges' g -0,24 [-0,830; 0,345] 0,4179
MW (SD)	-0,14 (1,670)	-0,13 (1,668)	
LS MW (SE)	-0,28 (0,279)	0,11 (0,389)	LS MD -0,40 [-1,346; 0,555] 0,4121
95 %-KI	-0,835; 0,269	-0,659; 0,883	
Änderung zu Monat 12			
n/N (%)	32/34 (94)	16/17 (94)	Hedges' g -0,06 [-0,663; 0,538] 0,8389
MW (SD)	0,25 (1,596)	-0,05 (2,066)	
LS MW (SE)	0,09 (0,284)	0,19 (0,401)	LS MD -0,10 [-1,077; 0,873] 0,8370
95 %-KI	-0,471; 0,652	-0,601; 0,985	
Änderung zu Monat 18			
n/N (%)	34/34 (100)	17/17 (100)	Hedges' g -0,02 [-0,600; 0,564] 0,9520
MW (SD)	0,15 (2,065)	-0,19 (1,527)	
LS MW (SE)	0,02 (0,275)	0,05 (0,389)	LS MD -0,03 [-0,974; 0,916] 0,9515
95 %-KI	-0,521; 0,569	-0,718; 0,824	
<i>Hedges' g basiert auf LS Means</i>			

AT1001-012	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Migalastat	ERT	
N	34	17	-
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

Sensitivitätsanalyse: BPI-SF Composite Score Graph: Veränderungen der Mittelwerte im Vergleich zu Baseline

35.11.1.08.03



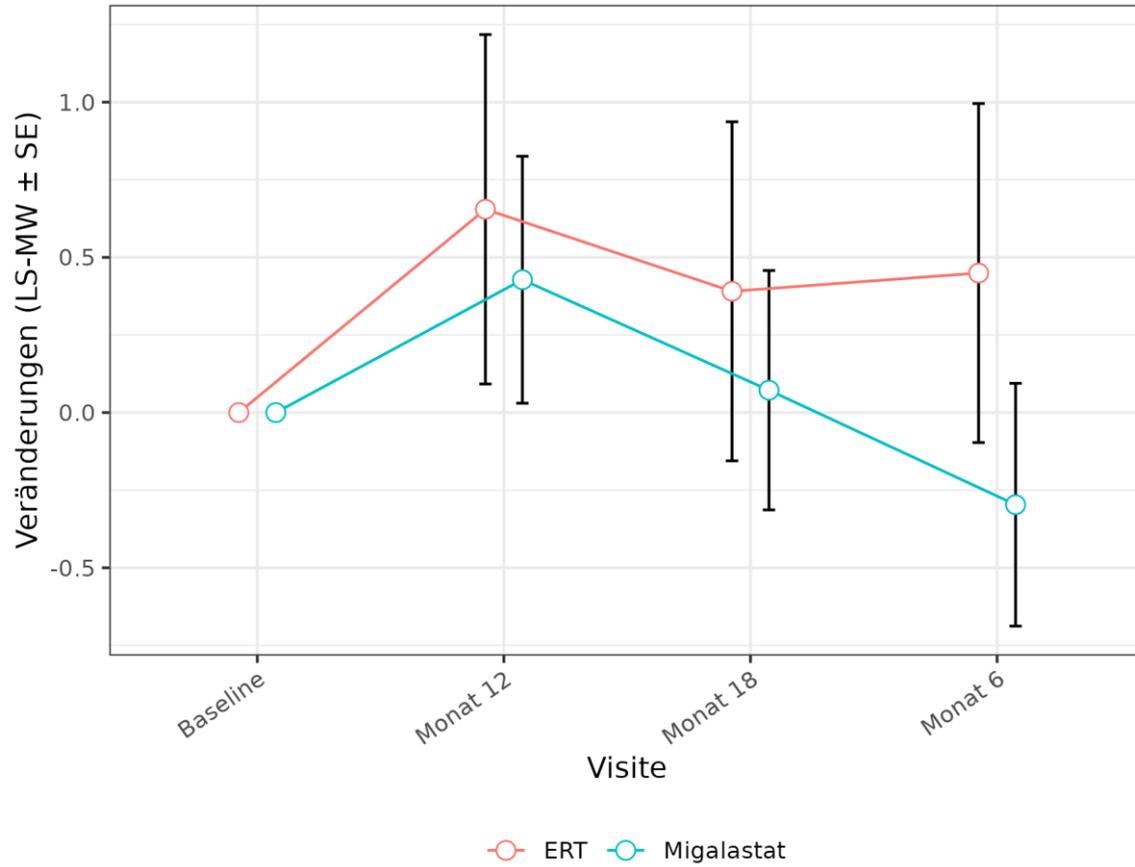
Sensitivitätsanalyse: BPI-SF "stärkste Schmerzen"**Sensitivitätsanalyse: BPI-SF "stärkste Schmerzen": Analyse**

AT1001-012	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Migalastat	ERT	
N	34	17	-
Sensitivitätsanalyse: BPI-SF "stärkste Schmerzen"			
Baseline			
n/N (%)	34/34 (100)	17/17 (100)	-
MW (SD)	1,91 (2,701)	2,65 (2,827)	
Änderung zu Monat 6			
n/N (%)	33/34 (97)	17/17 (100)	Hedges' g -0,33 [-0,916; 0,262] 0,2768
MW (SD)	-0,15 (2,224)	0,24 (1,715)	
LS MW (SE)	-0,30 (0,391)	0,45 (0,546)	LS MD -0,75 [-2,075; 0,582] 0,2684
95 %-KI	-1,070; 0,477	-0,631; 1,530	
Änderung zu Monat 12			
n/N (%)	32/34 (94)	16/17 (94)	Hedges' g -0,10 [-0,700; 0,501] 0,7461
MW (SD)	0,59 (2,674)	0,44 (2,966)	
LS MW (SE)	0,43 (0,398)	0,65 (0,563)	LS MD -0,23 [-1,590; 1,136] 0,7423
95 %-KI	-0,359; 1,215	-0,459; 1,769	
Änderung zu Monat 18			
n/N (%)	34/34 (100)	17/17 (100)	Hedges' g -0,14 [-0,722; 0,443] 0,6391
MW (SD)	0,18 (2,564)	0,18 (2,351)	
LS MW (SE)	0,07 (0,386)	0,39 (0,546)	LS MD -0,32 [-1,639; 1,002] 0,6338
95 %-KI	-0,691; 0,835	-0,690; 1,471	
<i>Hedges' g basiert auf LS Means</i>			

AT1001-012	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Migalastat	ERT	
N	34	17	-
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

Sensitivitätsanalyse: BPI-SF "stärkste Schmerzen" Graph: Veränderungen der Mittelwerte im Vergleich zu Baseline

35.11.1.08.04



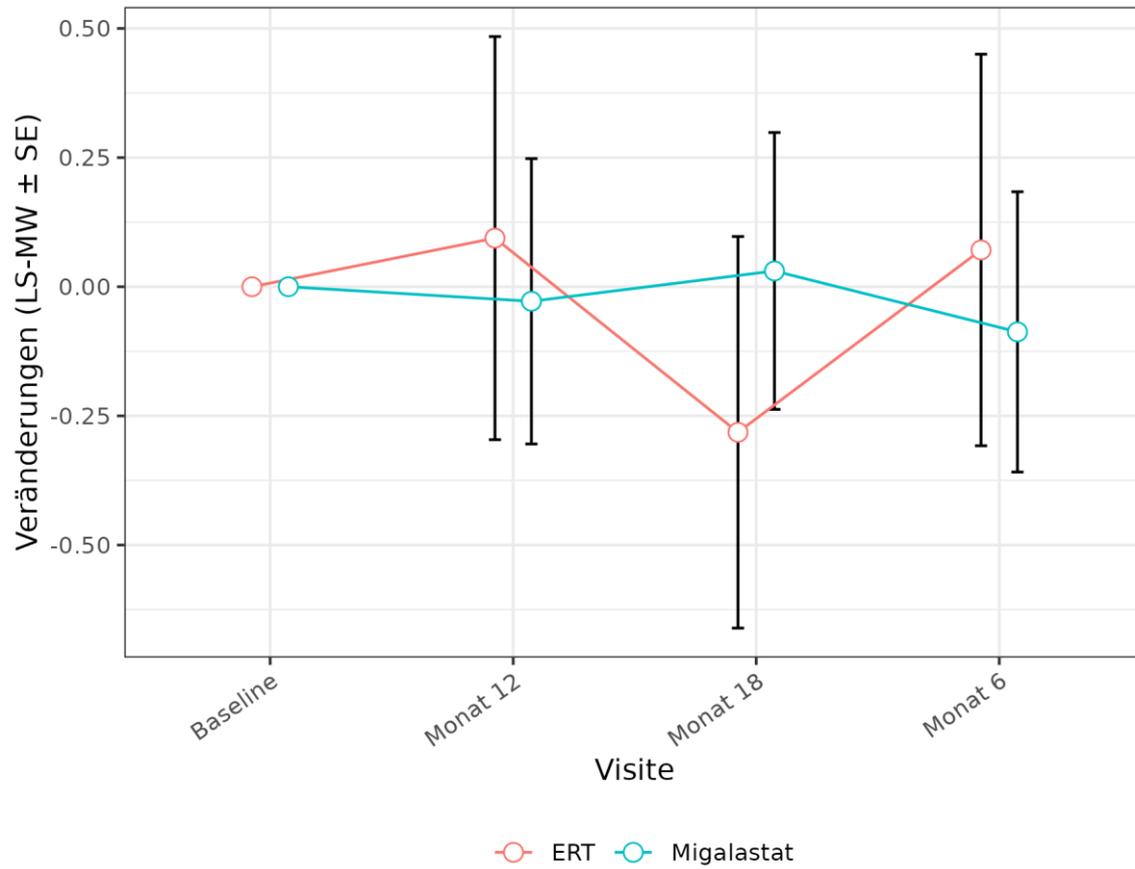
Sensitivitätsanalyse: BPI-SF "geringste Schmerzen"**Sensitivitätsanalyse: BPI-SF "geringste Schmerzen": Analyse**

AT1001-012	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Migalastat	ERT	
N	34	17	-
Sensitivitätsanalyse: BPI-SF "geringste Schmerzen"			
Baseline			
n/N (%)	34/34 (100)	17/17 (100)	-
MW (SD)	0,74 (1,286)	1,24 (1,751)	
Änderung zu Monat 6			
n/N (%)	33/34 (97)	17/17 (100)	Hedges' g -0,10 [-0,686; 0,485] 0,7376
MW (SD)	0,00 (2,046)	-0,06 (1,197)	
LS MW (SE)	-0,09 (0,271)	0,07 (0,379)	LS MD -0,16 [-1,083; 0,766] 0,7348
95 %-KI	-0,624; 0,449	-0,679; 0,821	
Änderung zu Monat 12			
n/N (%)	32/34 (94)	16/17 (94)	Hedges' g -0,08 [-0,677; 0,523] 0,8015
MW (SD)	0,06 (1,813)	0,00 (1,317)	
LS MW (SE)	-0,03 (0,276)	0,09 (0,390)	LS MD -0,12 [-1,071; 0,826] 0,7990
95 %-KI	-0,575; 0,518	-0,678; 0,866	
Änderung zu Monat 18			
n/N (%)	34/34 (100)	17/17 (100)	Hedges' g 0,20 [-0,387; 0,780] 0,5086
MW (SD)	0,12 (1,838)	-0,41 (1,278)	
LS MW (SE)	0,03 (0,268)	-0,28 (0,379)	LS MD 0,31 [-0,608; 1,232] 0,5029
95 %-KI	-0,500; 0,561	-1,032; 0,468	
<i>Hedges' g basiert auf LS Means</i>			

AT1001-012	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Migalastat	ERT	
N	34	17	-
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

Sensitivitätsanalyse: BPI-SF "geringste Schmerzen" Graph: Veränderungen der Mittelwerte im Vergleich zu Baseline

35.11.1.08.05



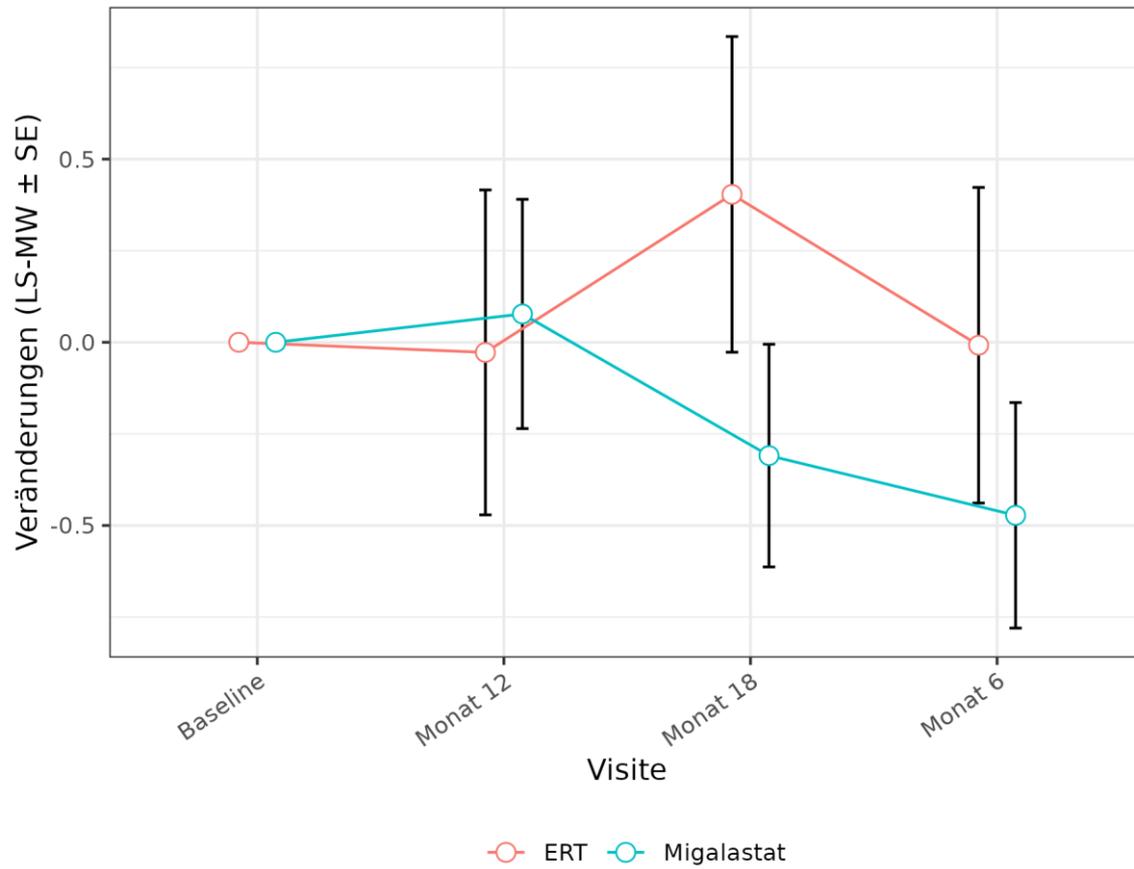
Sensitivitätsanalyse: BPI-SF "durchschnittliche Schmerzen"**Sensitivitätsanalyse: BPI-SF "durchschnittliche Schmerzen": Analyse**

AT1001-012	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Migalastat	ERT	
N	34	17	-
Sensitivitätsanalyse: BPI-SF "durchschnittliche Schmerzen"			
Baseline			
n/N (%)	34/34 (100)	17/17 (100)	-
MW (SD)	1,62 (2,118)	2,59 (2,575)	
Änderung zu Monat 6			
n/N (%)	33/34 (97)	17/17 (100)	Hedges' g -0,26 [-0,846; 0,329] 0,3892
MW (SD)	-0,27 (1,719)	-0,29 (2,339)	
LS MW (SE)	-0,47 (0,308)	-0,01 (0,431)	LS MD -0,46 [-1,514; 0,586] 0,3830
95 %-KI	-1,082; 0,137	-0,861; 0,845	
Änderung zu Monat 12			
n/N (%)	32/34 (94)	16/17 (94)	Hedges' g 0,06 [-0,542; 0,659] 0,8491
MW (SD)	0,28 (1,800)	-0,31 (2,387)	
LS MW (SE)	0,08 (0,313)	-0,03 (0,443)	LS MD 0,10 [-0,972; 1,182] 0,8473
95 %-KI	-0,542; 0,697	-0,905; 0,850	
Änderung zu Monat 18			
n/N (%)	34/34 (100)	17/17 (100)	Hedges' g -0,40 [-0,984; 0,192] 0,1867
MW (SD)	-0,12 (2,199)	0,12 (1,691)	
LS MW (SE)	-0,31 (0,304)	0,40 (0,431)	LS MD -0,71 [-1,757; 0,331] 0,1790
95 %-KI	-0,911; 0,292	-0,449; 1,257	
<i>Hedges' g basiert auf LS Means</i>			

AT1001-012	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Migalastat	ERT	
N	34	17	-
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

Sensitivitätsanalyse: BPI-SF "durchschnittliche Schmerzen" Graph: Veränderungen der Mittelwerte im Vergleich zu Baseline

35.11.1.08.06



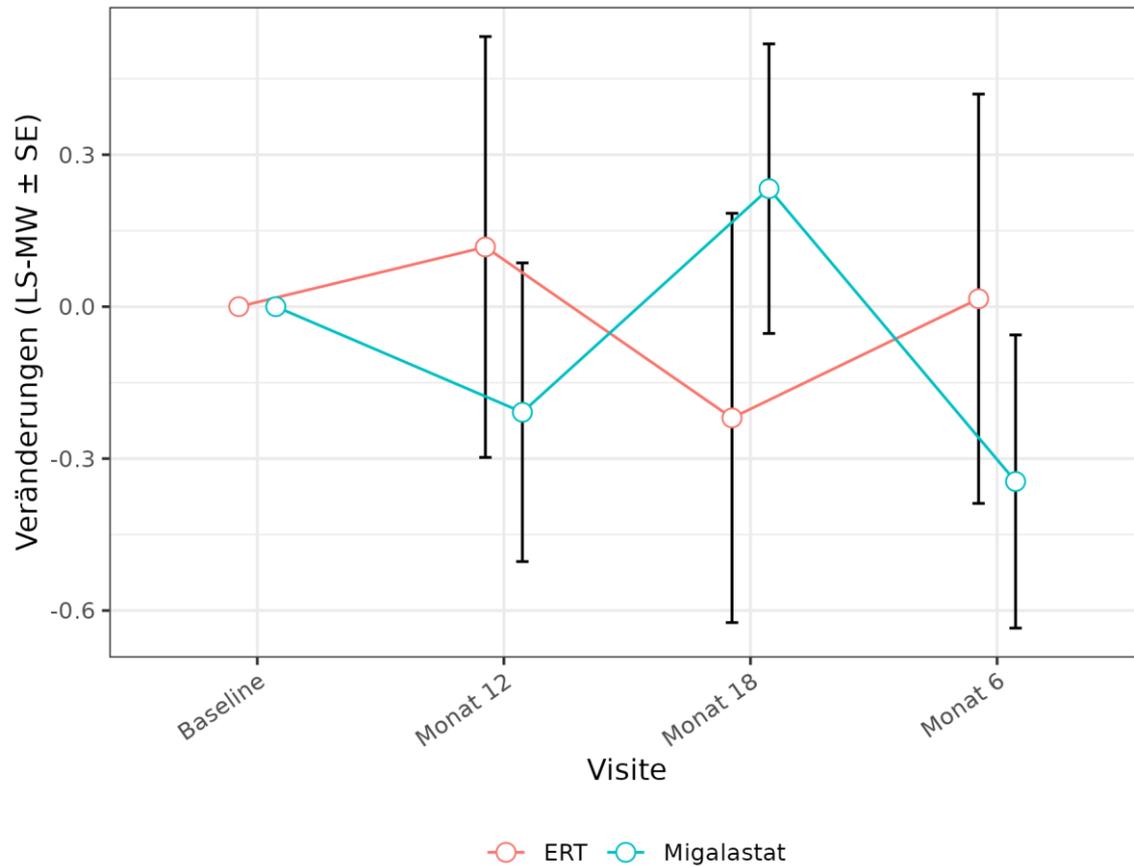
Sensitivitätsanalyse: BPI-SF "im Moment"**Sensitivitätsanalyse: BPI-SF "im Moment": Analyse**

AT1001-012	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Migalastat	ERT	
N	34	17	-
Sensitivitätsanalyse: BPI-SF "im Moment"			
Baseline			
n/N (%)	34/34 (100)	17/17 (100)	-
MW (SD)	0,88 (1,737)	2,00 (2,574)	
Änderung zu Monat 6			
n/N (%)	33/34 (97)	17/17 (100)	Hedges' g -0,21 [-0,800; 0,373] 0,4757
MW (SD)	-0,12 (1,654)	-0,41 (2,033)	
LS MW (SE)	-0,35 (0,289)	0,02 (0,404)	LS MD -0,36 [-1,352; 0,631] 0,4726
95 %-KI	-0,918; 0,228	-0,784; 0,816	
Änderung zu Monat 12			
n/N (%)	32/34 (94)	16/17 (94)	Hedges' g -0,19 [-0,794; 0,409] 0,5301
MW (SD)	0,06 (1,523)	-0,31 (2,442)	
LS MW (SE)	-0,21 (0,295)	0,12 (0,415)	LS MD -0,33 [-1,343; 0,691] 0,5265
95 %-KI	-0,792; 0,375	-0,705; 0,940	
Änderung zu Monat 18			
n/N (%)	34/34 (100)	17/17 (100)	Hedges' g 0,27 [-0,317; 0,852] 0,3700
MW (SD)	0,44 (2,439)	-0,65 (1,801)	
LS MW (SE)	0,23 (0,286)	-0,22 (0,404)	LS MD 0,45 [-0,534; 1,439] 0,3654
95 %-KI	-0,333; 0,799	-1,020; 0,580	
<i>Hedges' g basiert auf LS Means</i>			

AT1001-012	Behandlungsarm		Effektmaß [95 %-KI] p-Wert
	Migalastat	ERT	
N	34	17	-
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>			

Sensitivitätsanalyse: BPI-SF "im Moment" Graph: Veränderungen der Mittelwerte im Vergleich zu Baseline

35.11.1.08.07



Anhang 4-G zu Modul 4 A

Ergänzende Analysen zur Sicherheit

Ergänzende Analysen zur Sicherheit**Anzahl der Patienten mit mindestens einem UE nach SOC und PT****Anzahl der Patienten mit mindestens einem UE nach SOC und PT: Analyse**

AT1001-012	Behandlungsarm		Migalastat vs. ERT Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
	Migalastat	ERT	RR	OR	ARR
N	34	18			
Anzahl der Patienten mit mindestens einem UE nach SOC und PT					
Infektionen und parasitäre Erkrankungen (SOC)	23 (68%)	14 (78%)	0,88 [0,636; 1,208] 0,4212	0,59 [0,151; 2,342] 0,4574	-0,10 [-0,340; 0,146] 0,4359
Bronchitis (PT)	2 (6%)	3 (17%)	0,39 [0,087; 1,793] 0,2285	0,32 [0,045; 2,233] 0,2490	-0,10 [-0,290; 0,084] 0,2809
Grippe (PT)	5 (15%)	3 (17%)	0,95 [0,248; 3,665] 0,9450	0,95 [0,204; 4,394] 0,9451	-0,01 [-0,224; 0,208] 0,9454
Nasopharyngitis (PT)	12 (35%)	5 (28%)	1,30 [0,551; 3,054] 0,5520	1,51 [0,403; 5,648] 0,5410	0,08 [-0,171; 0,333] 0,5278
Sinusitis (PT)	3 (9%)	3 (17%)	0,61 [0,146; 2,521] 0,4910	0,52 [0,082; 3,287] 0,4858	-0,06 [-0,247; 0,123] 0,5101
Infektion der oberen Atemwege (PT)	4 (12%)	1 (6%)	2,08 [0,218; 19,898] 0,5236	2,19 [0,215; 22,333] 0,5074	0,06 [-0,093; 0,207] 0,4548
Harnwegsinfektion (PT)	4 (12%)	1 (6%)	1,70 [0,262; 11,026] 0,5791	1,90 [0,185; 19,452] 0,5896	0,05 [-0,103; 0,194] 0,5517
Stoffwechsel- und Ernährungsstörungen (SOC)	4 (12%)	1 (6%)	2,30 [0,256; 20,720] 0,4563	2,43 [0,250; 23,695] 0,4434	0,07 [-0,085; 0,222] 0,3806
Psychiatrische Erkrankungen (SOC)	6 (18%)	0 (0%)	2,42 [0,581; 10,096] 0,2247	2,78 [0,551; 14,040] 0,2159	0,20 [0,062; 0,329] 0,0042

AT1001-012	Behandlungsarm		Migalastat vs. ERT		
	Migalastat	ERT	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
N	34	18	RR	OR	ARR
Erkrankungen des Nervensystems (SOC)	13 (38%)	7 (39%)	0,95 [0,467; 1,927] 0,8831	0,92 [0,281; 2,988] 0,8851	-0,02 [-0,301; 0,260] 0,8853
Schwindelgefühl (PT)	5 (15%)	2 (11%)	1,19 [0,224; 6,316] 0,8396	1,20 [0,213; 6,759] 0,8359	0,02 [-0,172; 0,213] 0,8321
Kopfschmerzen (PT)	9 (26%)	4 (22%)	1,12 [0,405; 3,114] 0,8238	1,17 [0,298; 4,579] 0,8232	0,03 [-0,215; 0,271] 0,8211
Erkrankungen des Ohrs und des Labyrinths (SOC)	4 (12%)	1 (6%)	2,06 [0,243; 17,531] 0,5073	2,42 [0,204; 28,683] 0,4845	0,06 [-0,084; 0,197] 0,4308
Herzerkrankungen (SOC)	5 (15%)	2 (11%)	1,22 [0,287; 5,194] 0,7866	1,28 [0,212; 7,721] 0,7892	0,03 [-0,159; 0,211] 0,7832
Erkrankungen der Atemwege, des Brustraums und Mediastinums (SOC)	8 (24%)	7 (39%)	0,62 [0,244; 1,564] 0,3099	0,53 [0,161; 1,767] 0,3038	-0,14 [-0,421; 0,136] 0,3152
Husten (PT)	3 (9%)	4 (22%)	0,36 [0,076; 1,744] 0,2057	0,32 [0,058; 1,729] 0,1841	-0,13 [-0,346; 0,077] 0,2131
Dyspnoe (PT)	1 (3%)	2 (11%)	0,20 [0,011; 3,668] 0,2813	0,20 [0,015; 2,817] 0,2356	-0,08 [-0,237; 0,069] 0,2840
Erkrankungen des Gastrointestinaltrakts (SOC)	21 (62%)	9 (50%)	1,22 [0,723; 2,069] 0,4526	1,60 [0,493; 5,169] 0,4348	0,11 [-0,170; 0,394] 0,4351

AT1001-012	Behandlungsarm		Migalastat vs. ERT		
	Migalastat	ERT	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
N	34	18	RR	OR	ARR
Abdominalschmerz (PT)	5 (15%)	2 (11%)	1,37 [0,307; 6,101] 0,6799	1,37 [0,288; 6,506] 0,6925	0,05 [-0,169; 0,260] 0,6801
Diarrhö (PT)	5 (15%)	2 (11%)	1,43 [0,317; 6,463] 0,6406	1,59 [0,238; 10,689] 0,6312	0,05 [-0,130; 0,221] 0,6115
Gastritis (PT)	1 (3%)	2 (11%)	0,26 [0,034; 1,929] 0,1863	0,26 [0,030; 2,182] 0,2128	-0,10 [-0,266; 0,074] 0,2681
Übelkeit (PT)	5 (15%)	2 (11%)	1,32 [0,312; 5,551] 0,7084	1,38 [0,242; 7,884] 0,7153	0,04 [-0,155; 0,229] 0,7040
Erbrechen (PT)	3 (9%)	3 (17%)	0,49 [0,111; 2,198] 0,3538	0,44 [0,076; 2,534] 0,3563	-0,09 [-0,282; 0,109] 0,3880
Leber- und Gallenerkrankungen (SOC)	4 (12%)	0 (0%)	1,73 [0,385; 7,796] 0,4734	1,85 [0,349; 9,842] 0,4685	0,12 [0,011; 0,233] 0,0316
Erkrankungen der Haut und des Unterhautgewebes (SOC)	8 (24%)	4 (22%)	1,05 [0,370; 2,970] 0,9302	1,06 [0,274; 4,110] 0,9310	0,01 [-0,234; 0,255] 0,9306
Skelettmuskulatur-, Bindegewebs- und Knochenkrankungen (SOC)	15 (44%)	5 (28%)	1,55 [0,699; 3,416] 0,2821	2,05 [0,578; 7,248] 0,2669	0,16 [-0,107; 0,421] 0,2443
Arthralgie (PT)	3 (9%)	2 (11%)	0,65 [0,123; 3,439] 0,6122	0,60 [0,081; 4,442] 0,6179	-0,04 [-0,210; 0,128] 0,6337
Rückenschmerzen (PT)	3 (9%)	2 (11%)	0,84 [0,158; 4,483] 0,8392	0,81 [0,104; 6,245] 0,8361	-0,02 [-0,179; 0,146] 0,8398

AT1001-012	Behandlungsarm		Migalastat vs. ERT		
	Migalastat	ERT	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
N	34	18	RR	OR	ARR
Schmerz in einer Extremität (PT)	1 (3%)	2 (11%)	0,29 [0,035; 2,332] 0,2422	0,26 [0,023; 2,798] 0,2637	-0,08 [-0,244; 0,076] 0,3050
Erkrankungen der Nieren und Harnwege (SOC)	2 (6%)	2 (11%)	0,59 [0,085; 4,044] 0,5871	0,56 [0,069; 4,506] 0,5838	-0,04 [-0,208; 0,121] 0,6017
Erkrankungen der Geschlechtsorgane und der Brustdrüse (SOC)	0 (0%)	2 (11%)	0,29 [0,057; 1,461] 0,1331	0,25 [0,041; 1,492] 0,1273	-0,11 [-0,255; 0,035] 0,1371
Allgemeine Erkrankungen und Beschwerden am Verabreichungsort (SOC)	13 (38%)	7 (39%)	0,97 [0,469; 1,996] 0,9294	0,95 [0,298; 3,029] 0,9302	-0,01 [-0,298; 0,272] 0,9304
Ödem peripher (PT)	2 (6%)	2 (11%)	0,61 [0,102; 3,627] 0,5856	0,57 [0,073; 4,472] 0,5940	-0,04 [-0,209; 0,123] 0,6115
Untersuchungen (SOC)	9 (26%)	3 (17%)	1,67 [0,514; 5,443] 0,3934	1,95 [0,437; 8,721] 0,3812	0,11 [-0,116; 0,335] 0,3421
Verletzung, Vergiftung und durch Eingriffe bedingte Komplikationen (SOC)	6 (18%)	7 (39%)	0,46 [0,187; 1,149] 0,0971	0,31 [0,077; 1,242] 0,0981	-0,20 [-0,454; 0,045] 0,1076
Schmerzen während eines Eingriffes (PT)	0 (0%)	2 (11%)	0,29 [0,056; 1,521] 0,1439	0,25 [0,042; 1,542] 0,1365	-0,11 [-0,249; 0,037] 0,1473
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

Anzahl der Patienten mit mindestens einem milden UE nach SOC und PT**Anzahl der Patienten mit mindestens einem milden UE nach SOC und PT: Analyse**

AT1001-012	Behandlungsarm		Migalastat vs. ERT		
	Migalastat	ERT	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
N	34	18	RR	OR	ARR
Anzahl der Patienten mit mindestens einem milden UE nach SOC und PT					
Infektionen und parasitäre Erkrankungen (SOC)	22 (65%)	13 (72%)	0,91 [0,623; 1,326] 0,6199	0,73 [0,207; 2,599] 0,6307	-0,07 [-0,328; 0,196] 0,6239
Bronchitis (PT)	1 (3%)	3 (17%)	0,20 [0,027; 1,440] 0,1095	0,15 [0,014; 1,588] 0,1149	-0,14 [-0,317; 0,044] 0,1393
Grippe (PT)	4 (12%)	3 (17%)	0,75 [0,179; 3,131] 0,6914	0,72 [0,146; 3,586] 0,6924	-0,04 [-0,250; 0,168] 0,7002
Nasopharyngitis (PT)	12 (35%)	5 (28%)	1,30 [0,551; 3,054] 0,5520	1,51 [0,403; 5,648] 0,5410	0,08 [-0,171; 0,333] 0,5278
Sinusitis (PT)	1 (3%)	3 (17%)	0,21 [0,027; 1,656] 0,1392	0,13 [0,010; 1,696] 0,1204	-0,12 [-0,297; 0,048] 0,1564
Harnwegsinfektion (PT)	4 (12%)	0 (0%)	1,64 [0,360; 7,502] 0,5212	1,76 [0,321; 9,685] 0,5142	0,11 [0,003; 0,217] 0,0443
Erkrankungen des Nervensystems (SOC)	10 (29%)	6 (33%)	0,88 [0,378; 2,051] 0,7684	0,83 [0,243; 2,849] 0,7703	-0,04 [-0,309; 0,230] 0,7722
Schwindelgefühl (PT)	5 (15%)	2 (11%)	1,19 [0,224; 6,316] 0,8396	1,20 [0,213; 6,759] 0,8359	0,02 [-0,172; 0,213] 0,8321
Kopfschmerzen (PT)	7 (21%)	3 (17%)	1,26 [0,355; 4,475] 0,7212	1,32 [0,295; 5,898] 0,7167	0,04 [-0,180; 0,264] 0,7084

AT1001-012	Behandlungsarm		Migalastat vs. ERT		
	Migalastat	ERT	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
N	34	18	RR	OR	ARR
Erkrankungen des Ohrs und des Labyrinths (SOC)	4 (12%)	0 (0%)	1,64 [0,362; 7,472] 0,5202	1,77 [0,322; 9,707] 0,5114	0,11 [0,003; 0,216] 0,0447
Herzerkrankungen (SOC)	4 (12%)	0 (0%)	1,64 [0,359; 7,532] 0,5223	1,76 [0,322; 9,578] 0,5147	0,11 [0,003; 0,217] 0,0438
Erkrankungen der Atemwege, des Brustraums und Mediastinums (SOC)	8 (24%)	7 (39%)	0,62 [0,244; 1,564] 0,3099	0,53 [0,161; 1,767] 0,3038	-0,14 [-0,421; 0,136] 0,3152
Husten (PT)	3 (9%)	4 (22%)	0,36 [0,076; 1,744] 0,2057	0,32 [0,058; 1,729] 0,1841	-0,13 [-0,346; 0,077] 0,2131
Erkrankungen des Gastrointestinaltrakts (SOC)	21 (62%)	9 (50%)	1,22 [0,723; 2,069] 0,4526	1,60 [0,493; 5,169] 0,4348	0,11 [-0,170; 0,394] 0,4351
Diarrhö (PT)	5 (15%)	2 (11%)	1,43 [0,317; 6,463] 0,6406	1,59 [0,238; 10,689] 0,6312	0,05 [-0,130; 0,221] 0,6115
Übelkeit (PT)	3 (9%)	2 (11%)	0,75 [0,152; 3,695] 0,7233	0,72 [0,107; 4,810] 0,7313	-0,03 [-0,204; 0,145] 0,7408
Erbrechen (PT)	3 (9%)	3 (17%)	0,49 [0,111; 2,198] 0,3538	0,44 [0,076; 2,534] 0,3563	-0,09 [-0,282; 0,109] 0,3880
Erkrankungen der Haut und des Unterhautgewebes (SOC)	8 (24%)	3 (17%)	1,40 [0,434; 4,525] 0,5729	1,53 [0,349; 6,719] 0,5715	0,07 [-0,158; 0,294] 0,5535

AT1001-012	Behandlungsarm		Migalastat vs. ERT		
	Migalastat	ERT	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
N	34	18	RR	OR	ARR
Skelettmuskulatur-, Bindegewebs- und Knochenkrankungen (SOC)	11 (32%)	3 (17%)	1,90 [0,638; 5,655] 0,2492	2,52 [0,556; 11,423] 0,2306	0,15 [-0,073; 0,379] 0,1848
Erkrankungen der Nieren und Harnwege (SOC)	2 (6%)	2 (11%)	0,59 [0,085; 4,044] 0,5871	0,56 [0,069; 4,506] 0,5838	-0,04 [-0,208; 0,121] 0,6017
Allgemeine Erkrankungen und Beschwerden am Verabreichungsort (SOC)	8 (24%)	6 (33%)	0,67 [0,243; 1,821] 0,4279	0,62 [0,189; 1,999] 0,4192	-0,11 [-0,388; 0,167] 0,4358
Ödem peripher (PT)	0 (0%)	2 (11%)	0,29 [0,057; 1,461] 0,1331	0,25 [0,041; 1,492] 0,1273	-0,11 [-0,255; 0,035] 0,1371
Untersuchungen (SOC)	6 (18%)	3 (17%)	1,06 [0,286; 3,900] 0,9342	1,07 [0,226; 5,044] 0,9331	0,01 [-0,204; 0,223] 0,9326
Verletzung, Vergiftung und durch Eingriffe bedingte Komplikationen (SOC)	5 (15%)	6 (33%)	0,44 [0,155; 1,231] 0,1171	0,31 [0,073; 1,327] 0,1148	-0,19 [-0,425; 0,055] 0,1311
Schmerzen während eines Eingriffes (PT)	0 (0%)	2 (11%)	0,29 [0,056; 1,521] 0,1439	0,25 [0,042; 1,542] 0,1365	-0,11 [-0,249; 0,037] 0,1473
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

Anzahl der Patienten mit mindestens einem moderaten UE nach SOC und PT**Anzahl der Patienten mit mindestens einem moderaten UE nach SOC und PT: Analyse**

AT1001-012	Behandlungsarm		Migalastat vs. ERT		
	Migalastat	ERT	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
N	34	18	RR	OR	ARR
Anzahl der Patienten mit mindestens einem moderaten UE nach SOC und PT					
Infektionen und parasitäre Erkrankungen (SOC)	9 (26%)	1 (6%)	4,21 [0,682; 25,985] 0,1215	5,13 [0,651; 40,423] 0,1207	0,21 [0,014; 0,401] 0,0354
Erkrankungen des Nervensystems (SOC)	5 (15%)	2 (11%)	1,24 [0,293; 5,213] 0,7736	1,27 [0,233; 6,948] 0,7806	0,03 [-0,168; 0,225] 0,7742
Herzerkrankungen (SOC)	0 (0%)	2 (11%)	0,28 [0,057; 1,367] 0,1156	0,24 [0,041; 1,428] 0,1171	-0,12 [-0,266; 0,031] 0,1217
Erkrankungen der Atemwege, des Brustraums und Mediastinums (SOC)	0 (0%)	2 (11%)	0,29 [0,056; 1,529] 0,1452	0,26 [0,043; 1,533] 0,1359	-0,11 [-0,248; 0,037] 0,1481
Erkrankungen des Gastrointestinaltrakts (SOC)	4 (12%)	3 (17%)	0,72 [0,192; 2,671] 0,6191	0,66 [0,127; 3,464] 0,6272	-0,05 [-0,250; 0,154] 0,6399
Skelettmuskulatur-, Bindegewebs- und Knochenkrankungen (SOC)	8 (24%)	3 (17%)	1,40 [0,434; 4,525] 0,5729	1,53 [0,349; 6,719] 0,5715	0,07 [-0,158; 0,294] 0,5535

AT1001-012	Behandlungsarm		Migalastat vs. ERT		
	Migalastat	ERT	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
N	34	18	RR	OR	ARR
Allgemeine Erkrankungen und Beschwerden am Verabreichungsort (SOC)	5 (15%)	3 (17%)	0,96 [0,275; 3,321] 0,9430	0,95 [0,201; 4,448] 0,9445	-0,01 [-0,221; 0,206] 0,9448
Untersuchungen (SOC)	5 (15%)	1 (6%)	2,91 [0,376; 22,517] 0,3062	2,91 [0,371; 22,827] 0,3094	0,11 [-0,066; 0,285] 0,2204
Verletzung, Vergiftung und durch Eingriffe bedingte Komplikationen (SOC)	2 (6%)	3 (17%)	0,39 [0,079; 1,951] 0,2536	0,36 [0,056; 2,268] 0,2751	-0,10 [-0,299; 0,092] 0,3004
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

Anzahl der Patienten mit mindestens einem schweren UE nach SOC und PT**Anzahl der Patienten mit mindestens einem schweren UE nach SOC und PT: Analyse**

AT1001-012	Behandlungsarm		Migalastat vs. ERT Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
	Migalastat	ERT	RR	OR	ARR
N	34	18			
Anzahl der Patienten mit mindestens einem schweren UE nach SOC und PT					
Herzerkrankungen (SOC)	1 (3%)	1 (6%)	0,51 [0,048; 5,523] 0,5818	0,51 [0,039; 6,760] 0,6118	-0,03 [-0,163; 0,100] 0,6395
Herzinsuffizienz chronisch (PT)	0 (0%)	1 (6%)	0,36 [0,070; 1,885] 0,2285	0,33 [0,052; 2,082] 0,2375	-0,06 [-0,178; 0,049] 0,2637
Erkrankungen des Gastrointestinaltrakts (SOC)	1 (3%)	1 (6%)	0,51 [0,048; 5,523] 0,5818	0,51 [0,039; 6,760] 0,6118	-0,03 [-0,163; 0,100] 0,6395
Gastrointestinale Obstruktion (PT)	0 (0%)	1 (6%)	0,36 [0,070; 1,885] 0,2285	0,33 [0,052; 2,082] 0,2375	-0,06 [-0,178; 0,049] 0,2637
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					

Anzahl der Patienten mit mindestens einem SUE nach SOC und PT**Anzahl der Patienten mit mindestens einem SUE nach SOC und PT: Analyse**

AT1001-012	Behandlungsarm		Migalastat vs. ERT Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
	Migalastat	ERT	RR	OR	ARR
N	34	18			
Anzahl der Patienten mit mindestens einem SUE nach SOC und PT					
Erkrankungen des Nervensystems (SOC)	0 (0%)	1 (6%)	0,38 [0,070; 2,057]	0,34 [0,052; 2,221]	-0,06 [-0,165; 0,050]
Transitorische ischämische Attacke (PT)	0 (0%)	1 (6%)	0,2610	0,2595	0,2960
Erkrankungen des Ohrs und des Labyrinths (SOC)	0 (0%)	1 (6%)	0,39 [0,069; 2,168]	0,35 [0,053; 2,311]	-0,05 [-0,157; 0,051]
Vertigo (PT)	0 (0%)	1 (6%)	0,2799	0,2761	0,3176
Herzerkrankungen (SOC)	1 (3%)	1 (6%)	0,51 [0,048; 5,523]	0,51 [0,039; 6,760]	-0,03 [-0,163; 0,100]
Herzinsuffizienz chronisch (PT)	0 (0%)	1 (6%)	0,5818	0,6118	0,6395
Herzinsuffizienz chronisch (PT)	0 (0%)	1 (6%)	0,36 [0,070; 1,885]	0,33 [0,052; 2,082]	-0,06 [-0,178; 0,049]
			0,2285	0,2375	0,2637
Erkrankungen der Atemwege, des Brustraums und Mediastinums (SOC)	0 (0%)	1 (6%)	0,39 [0,068; 2,183]	0,35 [0,054; 2,324]	-0,05 [-0,156; 0,051]
Dyspnoe (PT)	0 (0%)	1 (6%)	0,2818	0,2793	0,3195
Erkrankungen des Gastrointestinaltrakts (SOC)	0 (0%)	2 (11%)	0,29 [0,057; 1,461]	0,25 [0,041; 1,492]	-0,11 [-0,255; 0,035]
			0,1331	0,1273	0,1371

AT1001-012	Behandlungsarm		Migalastat vs. ERT		
	Migalastat	ERT	Effektmaß [95 %-KI] p-Wert		
N	34	18	RR	OR	ARR
Abdominalschmerz (PT)	0 (0%)	1 (6%)	0,38 [0,070; 2,057] 0,2610	0,34 [0,052; 2,221] 0,2595	-0,06 [-0,165; 0,050] 0,2960
Eventrationshernie (PT)	0 (0%)	1 (6%)	0,39 [0,068; 2,183] 0,2818	0,35 [0,054; 2,324] 0,2793	-0,05 [-0,156; 0,051] 0,3195
Allgemeine Erkrankungen und Beschwerden am Verabreichungsort (SOC)	3 (9%)	2 (11%)	0,85 [0,176; 4,139] 0,8446	0,84 [0,137; 5,151] 0,8515	-0,02 [-0,200; 0,166] 0,8544
Asthenie (PT)	0 (0%)	1 (6%)	0,39 [0,068; 2,183] 0,2818	0,35 [0,054; 2,324] 0,2793	-0,05 [-0,156; 0,051] 0,3195
Brustkorbschmerz (PT)	3 (9%)	0 (0%)	1,51 [0,329; 6,922] 0,5964	1,58 [0,289; 8,634] 0,5985	0,10 [-0,002; 0,202] 0,0538
Funktionsstörung eines Medizinprodukts (PT)	0 (0%)	1 (6%)	0,36 [0,070; 1,885] 0,2285	0,33 [0,052; 2,082] 0,2375	-0,06 [-0,178; 0,049] 0,2637
<i>Für die Bedeutung von Abkürzungen siehe Abkürzungsverzeichnis.</i>					