

Inhaltsverzeichnis

1	Zusätzliche Informationen	3
1.1	Patientenrelevante Endpunkte	3
1.1.1	MSSI	3
2	Auswertungen zur finalen Analyse (Woche 104)	6
2.1	Subgruppenanalysen ohne signifikanten Interaktionsterm	6
2.1.1	Morbidität: Main Severity Score Index	6
2.1.1.1	Veränderung des MSSI-Scores gegenüber Baseline.....	6
2.1.1.2	Responderanalysen für den MSSI-Score.....	37
2.1.2	Morbidität: Veränderung des Schmerzerlebens gemessen anhand des BPI-SF	46
2.1.2.1	Veränderung der BPI-SF-Scores gegenüber Baseline.....	46
2.1.2.2	Responderanalysen für den BPI-SF-Score.....	131
2.1.3	Morbidität: Häufigkeit der Schmerzmitteleinnahme und Anzahl der unterschiedlichen eingenommenen Schmerzmittel	208
2.1.4	Morbidität: Auftreten von Fabry Clinical Events	211
2.1.5	Morbidität: Veränderung des Gesundheitszustandes gemessen anhand der EQ-5D-5L VAS	212
2.1.5.1	Veränderung der EQ-5D-5L-VAS-Scores gegenüber Baseline.....	212
2.1.5.2	Responderanalysen für den EQ-5D-5L-VAS-Score.....	218
2.1.6	Morbidität: Veränderung der kardialen Hypertrophie gemessen anhand des LVMi	226
2.1.7	Sicherheit: Endpunkte zu unerwünschten Ereignissen	235
2.1.7.1	Unerwünschte Ereignisse (Gesamtraten UE, SUE, schwere UE, Therapieabbruch).....	235
2.1.7.2	UE ohne krankheitsbezogene Ereignisse (Sensitivitätsanalysen für die Gesamtrate der UE, SUE und schweren UE).....	246
2.1.7.3	UESI: Infusionsbedingte Reaktionen (IRR).....	255
2.1.7.4	UESI: Anti-Drug-Antikörper (ADA).....	268
3	Auswertungen zur Interimanalyse (Woche 52)	271
3.1	Hauptanalysen	271
3.1.1	Morbidität: Main Severity Score Index	271
3.1.1.1	Veränderung des MSSI-Scores gegenüber Baseline.....	271
3.1.1.2	Responderanalysen für den MSSI-Score.....	274
3.1.2	Morbidität: Veränderung des Schmerzerlebens gemessen anhand des BPI-SF	276
3.1.2.1	Veränderung der BPI-SF-Scores gegenüber Baseline.....	276
3.1.2.2	Responderanalysen für den BPI-SF-Score.....	284

3.1.3	Morbidität: Veränderung des Gesundheitszustandes gemessen anhand der EQ-5D-5L VAS	298
3.1.3.1	Veränderung der EQ-5D-5L-VAS-Scores gegenüber Baseline	298
3.1.3.2	Responderanalysen für den EQ-5D-5L-VAS-Score	299
3.1.4	Morbidität: Veränderung der kardialen Hypertrophie gemessen anhand des LVMi	300
3.1.5	Sicherheit: Endpunkte zu unerwünschten Ereignissen	302
3.1.5.1	UESI: Anti-Drug-Antikörper (ADA)	302
3.2	Subgruppenanalysen (Subgruppen mit statistisch signifikantem Interaktionsterm)	303
3.2.1	Morbidität: Mainz Severity Score Index	303
3.2.1.1	Veränderung des MSSI-Scores gegenüber Baseline	303
3.2.2	Morbidität: Veränderung des Schmerzerlebens gemessen anhand des BPI-SF	309
3.2.2.1	Veränderung der BPI-SF-Scores gegenüber Baseline	309
3.2.2.2	Responderanalysen für den BPI-SF-Score	311
3.2.3	Morbidität: Veränderung des Gesundheitszustandes gemessen anhand der EQ-5D-5L-VAS	312
3.2.3.1	Veränderung der EQ-5D-5L-Scores gegenüber Baseline	312
3.2.4	Sicherheit: Endpunkte zu unerwünschten Ereignissen	314
3.2.4.1	UESI: Anti-Drug-Antikörper (ADA)	314
3.3	Subgruppenanalysen (Subgruppen ohne statistisch signifikanten Interaktionsterm)	314
3.3.1	Morbidität: Mainz Severity Score Index	314
3.3.1.1	Veränderung des MSSI-Scores gegenüber Baseline	314
3.3.1.2	Responderanalysen für den MSSI-Score	342
3.3.2	Morbidität: Veränderung des Schmerzerlebens gemessen anhand des BPI-SF	350
3.3.2.1	Veränderung der BPI-SF-Scores gegenüber Baseline	350
3.3.2.2	Responderanalysen für den BPI-SF-Score	434
3.3.3	Morbidität: Veränderung des Gesundheitszustandes gemessen anhand der EQ-5D-5L VAS	505
3.3.3.1	Veränderung der EQ-5D-5L-VAS-Scores gegenüber Baseline	505
3.3.3.2	Responderanalysen für den EQ-5D-5L-VAS-Score	513
3.3.4	Morbidität: Veränderung der kardialen Hypertrophie gemessen anhand des LVMi	520
3.3.5	Sicherheit: Endpunkte zu unerwünschten Ereignissen	531
3.3.5.1	UESI: Anti-Drug-Antikörper (ADA)	531

1 Zusätzliche Informationen

1.1 Patientenrelevante Endpunkte

1.1.1 MSSI

Tabelle 1: Symptome und zugehörige Gewichtung per Punktzahl des MSSI

Symptom	Beurteilung	Punkte
Allgemeine Symptome		
Charakteristische Gesichtsmerkmale	Nein	0
	Ja	1
Angiokeratome	Nein	0
	Einige	1
	Extensiv	2
Ödeme	Nein	0
	Ja	1
Muskuloskeletale Symptome	Nein	0
	Ja	1
Cornea verticillata	Nein	0
	Ja	1
Diaphoresse (Schweißabsonderung)	Normal	0
	Hypo-/Hyperhidrose	1
	Anhidrose	2
Abdominale Schmerzen	Nein	0
	Ja	2
Diarrhoe oder Verstopfung	Nein	0
	Ja	1
Hämorrhiden	Nein	0
	Ja	1
Pulmonale Symptome	Nein	0
	Ja	2
NYHA-Klassifikation ^a	Nein	0
	Klasse I	1
	Klasse II	2
	Klasse III	3
	Klasse IV	4
Maximaler Gesamtscore für allgemeine Symptome		18
Neurologische Symptome		
Tinnitus	Nein	0
	Mild	1
	Schwer	2

Symptom	Beurteilung	Punkte
Vertigo	Nein	0
	Mild	1
	Schwer	2
Akroparästhesie	Nein	0
	Gelegentlich	3
	Chronisch	6
Schmerzkrisen	Nein	0
	Ja	2
Zerebrovaskuläre Symptome	Nein	0
	Ischämische Läsionen ^b	1
	TIA, Migräne, etc.	3
	Schlaganfall	5
Psychiatrische / psychosoziale Symptome		
- Depression	Nein	0
	Ja	1
- Erschöpfung	Nein	0
	Ja	1
- Reduzierter Aktivitätslevel	Nein	0
	Ja	1
Maximaler Gesamtscore für neurologische Symptome		20
Kardiovaskuläre Symptome		
Veränderungen in der kardialen Muskeldicke	Nein	0
	Verdickung der Wand / des Septums	1
	LVH erkennbar in EKG	6
	Kardiomyopathie (< 15 mm)	8
	Schwere Kardiomyopathie (> 15 mm)	12
Herzklappeninsuffizienz	Nein	0
	Ja	1
Abnormalitäten im EKG	Nein	0
	Ja	2
Herzschrittmacher	Nein	0
	Ja	4

Symptom	Beurteilung	Punkte
Bluthochdruck	Nein	0
	Ja	1
Maximaler Gesamtscore für neurologische Symptome		20
Renale Symptome		
Belege für eine Nierenfehlfunktion	Nein	0
	Proteinurie	4
	Tubuläre Dysfunktion / niedrige GFR oder Kreatinin-Clearance	8
	Nierenversagen im Endstadium (Serum-Kreatinin-Konzentration > 3,5 mg/dl)	12
	Dialyse	18
Maximaler Gesamtscore für neurologische Symptome		18

NYHA: New York Heart Association; MRT: Magnetresonanztomographie, CT: Computertomographie; TIA: Transiente ischämische Attacke; LVH: Linksventrikuläre Hypertrophie, EKG: Elektrokardiogramm, GFR: glomeruläre Filtrationsrate

- a) Einstufung der Beschränkung körperlicher Aktivität;
- Klasse I: Keine Einschränkung der Belastbarkeit. Vollständiges Fehlen von Symptomen oder Beschwerden bei Belastung bei diagnostizierter Herzkrankheit.
- Klasse II: Leichte Einschränkung der Belastbarkeit. Beschwerdefreiheit in Ruhe und bei leichter Anstrengung, Auftreten von Symptomen bei stärkerer Belastung.
- Klasse III: Starke Einschränkung der Belastbarkeit. Beschwerdefreiheit in Ruhe, Auftreten von Symptomen bereits bei leichter Belastung.
- Klasse IV: Dauerhafte Symptomatik, auch in Ruhe.
- b) Erhoben mittels MRT oder CT-Scan

2 Auswertungen zur finalen Analyse (Woche 104)

2.1 Subgruppenanalysen ohne signifikanten Interaktionsterm

2.1.1 Morbidität: Main Severity Score Index

2.1.1.1 Veränderung des MSSI-Scores gegenüber Baseline

2.1.1.1.1 Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score

2.1.1.1.1.1 ADA-Status zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,6920							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Negativ	Pegunigalsidase alfa	34	20,53 (9,52)	-	-	-
		Agalsidase beta	17	24,00 (11,08)			
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	18	29,00 (7,91)			
		Agalsidase beta	8	27,62 (10,13)			
Woche 104	Negativ	Pegunigalsidase alfa	30	18,13 (11,39)	-2,08 (0,90) [-3,86; -0,30]	-4,27 (1,53) [-7,29; -1,24]	0,0060
		Agalsidase beta	16	26,38 (10,64)	2,18 (1,23) [-0,25; 4,62]		
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	14	28,50 (10,34)	-1,77 (1,53) [-4,83; 1,29]	-3,05 (2,65) [-8,33; 2,22]	0,2525
		Agalsidase beta	7	28,71 (12,61)	1,29 (2,15) [-3,01; 5,58]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert;SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.1.1.2 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,4934							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	33	23,70 (9,99)	-	-	-
		Agalsidase beta	19	24,79 (11,76)			
	> -5	Pegunigalsidase alfa	19	23,05 (9,72)			
		Agalsidase beta	6	26,33 (7,12)			
Woche 104	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	28	21,39 (12,64)	-1,82 (1,02) [-3,83; 0,20]	-3,71 (1,61) [-6,90; -0,52]	0,0228
		Agalsidase beta	19	26,63 (11,62)	1,89 (1,25) [-0,57; 4,36]		
	> -5	Pegunigalsidase alfa	16	21,50 (11,15)	-2,51 (1,15) [-4,80; -0,22]	-5,74 (2,48) [-10,70; -0,78]	0,0240
		Agalsidase beta	4	29,25 (8,66)	3,23 (2,20) [-1,17; 7,62]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.1.1.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,4931							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	28	20,71 (9,95)	-	-	-
		Agalsidase beta	11	24,09 (8,22)			

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score								
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,4931								
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert	
	≤60	Pegunigalsidase alfa	13	29,15 (7,67)				
		Agalsidase beta	8	33,75 (7,63)				
	>90	Pegunigalsidase alfa	11	23,73 (9,41)				
		Agalsidase beta	6	15,67 (10,29)				
Woche 104	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	26	17,92 (11,16)	-2,93 (0,89) [-4,68; -1,17]	-5,39 (1,70) [-8,76; -2,03]	0,0019	
		Agalsidase beta	9	26,22 (9,97)	2,47 (1,45) [-0,40; 5,33]			
	≤60	Pegunigalsidase alfa	10	30,70 (9,99)	0,49 (2,10) [-3,74; 4,71]	-1,17 (3,16) [-7,52; 5,18]	0,7122	
		Agalsidase beta	8	34,75 (9,22)	1,66 (2,35) [-3,07; 6,38]			
	>90	Pegunigalsidase alfa	8	21,25 (11,88)	-2,78 (1,44) [-5,69; 0,12]	-4,93 (2,36) [-9,69; -0,16]	0,0431	
		Agalsidase beta	6	18,17 (8,16)	2,14 (1,84) [-1,57; 5,86]			
	<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
	ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.1.1.1.4 Klassifizierung des Morbus Fabry

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,2339							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	27	25,93 (9,58)	-	-	-
		Agalsidase beta	14	25,64 (10,46)			
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	25	20,80 (9,50)			
		Agalsidase beta	11	24,55 (11,52)			
Woche 104	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	21	24,05 (12,19)	-1,82 (1,12) [-4,04; 0,39]	-2,53 (1,84) [-6,18; 1,12]	0,1726
		Agalsidase beta	12	26,33 (10,33)	0,71 (1,46) [-2,19; 3,61]		
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	23	19,04 (11,55)	-2,21 (1,05) [-4,29; -0,12]	-5,66 (1,87) [-9,37; -1,95]	0,0031
		Agalsidase beta	11	27,91 (12,20)	3,45 (1,55) [0,39; 6,52]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.1.1.1.5 Region

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,3864							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Europa	Pegunigalsidase alfa	19	25,47 (11,37)	-	-	-
		Agalsidase beta	7	26,43 (11,69)			

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,3864							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Woche 104	USA	Pegunigalsidase alfa	33	22,30 (8,74)			
		Agalsidase beta	18	24,67 (10,63)			
	Europa	Pegunigalsidase alfa	18	23,28 (13,68)	-2,47 (1,09) [-4,64; -0,30]	-5,70 (2,12) [-9,92; -1,48]	0,0089
		Agalsidase beta	6	30,83 (13,26)	3,23 (1,82) [-0,39; 6,86]		
	USA	Pegunigalsidase alfa	26	20,15 (10,76)	-1,82 (1,04) [-3,87; 0,24]	-3,36 (1,67) [-6,66; -0,07]	0,0456
		Agalsidase beta	17	25,76 (10,26)	1,55 (1,30) [-1,03; 4,12]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.1.1.1.6 Geschlecht

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,6751							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Männlich	Pegunigalsidase alfa	29	26,07 (9,98)	-	-	-
		Agalsidase beta	18	27,39 (10,67)			
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	23	20,17 (8,70)			
		Agalsidase beta	7	19,43 (9,14)			

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,6751							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Woche 104	Männlich	Pegunigalsidase alfa	22	24,77 (12,37)	-1,86 (1,07) [-3,97; 0,25]	-3,69 (1,65) [-6,95; -0,43]	0,0266
		Agalsidase beta	16	29,31 (11,16)	1,84 (1,26) [-0,65; 4,32]		
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	22	18,09 (10,85)	-2,29 (1,17) [-4,61; 0,03]	-4,91 (2,38) [-9,63; -0,18]	
		Agalsidase beta	7	22,00 (9,57)	2,62 (2,07) [-1,50; 6,73]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.1.1.1.7 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,3350							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Ja	Pegunigalsidase alfa	26	25,54 (8,69)	-	-	-
		Agalsidase beta	16	29,50 (9,24)			
	Nein	Pegunigalsidase alfa	26	21,38 (10,55)			
		Agalsidase beta	9	17,44 (8,93)			
Woche 104	Ja	Pegunigalsidase alfa	21	25,29 (11,39)	-0,52 (1,14) [-2,78; 1,75]	-2,62 (1,77) [-6,13; 0,89]	0,1426

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,3350							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	15	31,27 (9,94)	2,10 (1,35) [-0,57; 4,77]		
	Nein	Pegunigalsidase alfa	23	17,91 (11,65)	-3,40 (0,97) [-5,32; -1,49]	-5,12 (1,90) [-8,89; -1,35]	0,0082
		Agalsidase beta	8	19,25 (8,80)	1,72 (1,63) [-1,51; 4,96]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.1.1.2 Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'kardiovaskulär'

2.1.1.1.2.1 ADA-Status zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'kardiovaskulär'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,3967							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Negativ	Pegunigalsidase alfa	34	5,24 (5,95)	-	-	-
		Agalsidase beta	17	6,65 (5,97)			
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	18	7,06 (4,89)			
		Agalsidase beta	8	8,00 (4,41)			
Woche 104	Negativ	Pegunigalsidase alfa	30	5,03 (6,05)	-0,20 (0,42) [-1,04; 0,63]	-1,69 (0,72) [-3,12; -0,27]	0,0199
Agalsidase beta		16	8,06 (5,20)	1,49 (0,58) [0,34; 2,64]			

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'kardiovaskulär'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,3967							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	14	6,64 (5,93)	-0,59 (0,95) [-2,49; 1,31]	-0,17 (1,65) [-3,45; 3,11]	0,9180
		Agalsidase beta	7	7,29 (5,41)	-0,42 (1,34) [-3,09; 2,26]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.1.1.2.2 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'kardiovaskulär'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,2359							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	33	5,30 (5,65)	-	-	-
		Agalsidase beta	19	6,37 (6,07)			
	> -5	Pegunigalsidase alfa	19	6,84 (5,60)			
		Agalsidase beta	6	9,33 (1,63)			
Woche 104	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	28	4,89 (5,88)	-0,11 (0,55) [-1,19; 0,97]	-1,49 (0,86) [-3,20; 0,22]	0,0867
		Agalsidase beta	19	7,68 (5,40)	1,38 (0,67) [0,06; 2,70]		
	> -5	Pegunigalsidase alfa	16	6,69 (6,20)	-0,72 (0,65) [-2,01; 0,57]	0,51 (1,45) [-2,38; 3,40]	

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'kardiovaskulär'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,2359							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	4	8,50 (4,36)	-1,23 (1,29) [-3,82; 1,35]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.1.1.2.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'kardiovaskulär'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,4860							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	28	4,71 (5,21)	-	-	-
		Agalsidase beta	11	7,18 (4,79)			
	≤60	Pegunigalsidase alfa	13	8,15 (5,81)			
		Agalsidase beta	8	10,12 (5,64)			
	>90	Pegunigalsidase alfa	11	6,09 (6,07)			
		Agalsidase beta	6	2,83 (4,02)			
Woche 104	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	26	4,04 (5,38)	-0,52 (0,47) [-1,45; 0,41]	-2,09 (0,90) [-3,87; -0,31]	0,0220
		Agalsidase beta	9	8,56 (4,22)	1,57 (0,76) [0,06; 3,07]		
	≤60	Pegunigalsidase alfa	10	9,20 (5,94)	0,58 (1,11) [-1,66; 2,81]	0,02 (1,67) [-3,34; 3,37]	0,9906

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'kardiovaskulär'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,4860							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	8	10,62 (5,07)	0,56 (1,24) [-1,94; 3,06]		
	>90	Pegunigalsidase alfa	8	5,88 (6,64)	-0,95 (1,05) [-3,06; 1,17]	-0,77 (1,66) [-4,12; 2,57]	0,6440
		Agalsidase beta	6	3,00 (3,29)	-0,17 (1,28) [-2,75; 2,40]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.1.1.2.4 Klassifizierung des Morbus Fabry

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'kardiovaskulär'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,7265							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	27	6,81 (5,53)	-	-	-
		Agalsidase beta	14	6,29 (4,20)			
	Nicht- klassisch	Pegunigalsidase alfa	25	4,84 (5,66)			
		Agalsidase beta	11	8,09 (6,83)			
Woche 104	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	21	6,38 (6,05)	-0,20 (0,70) [-1,59; 1,20]	-0,84 (1,15) [-3,12; 1,45]	0,4705
		Agalsidase beta	12	6,75 (4,00)	0,64 (0,92) [-1,17; 2,45]		

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'kardiovaskulär'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,7265							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	Nicht- klassisch	Pegunigalsidase alfa	23	4,78 (5,96)	-0,34 (0,47) [-1,28; 0,60]	-1,34 (0,84) [-3,00; 0,33]	0,1145
		Agalsidase beta	11	9,00 (6,15)	0,99 (0,69) [-0,38; 2,37]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.1.1.2.5 Region

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'kardiovaskulär'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,2411							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Europa	Pegunigalsidase alfa	19	7,21 (7,00)	-	-	-
		Agalsidase beta	7	8,86 (6,31)			
	USA	Pegunigalsidase alfa	33	5,09 (4,60)			
		Agalsidase beta	18	6,39 (5,12)			
Woche 104	Europa	Pegunigalsidase alfa	18	7,94 (7,40)	0,45 (0,46) [-0,47; 1,36]	-0,28 (0,89) [-2,05; 1,50]	0,7566
		Agalsidase beta	6	10,00 (6,45)	0,72 (0,76) [-0,80; 2,24]		
	USA	Pegunigalsidase alfa	26	3,88 (4,18)	-0,87 (0,59) [-2,04; 0,30]	-1,81 (0,95) [-3,69; 0,08]	0,0602

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'kardiovaskulär'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,2411							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	17	7,06 (4,59)	0,94 (0,74) [-0,53; 2,40]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.1.1.2.6 Geschlecht

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'kardiovaskulär'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,6664							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Männlich	Pegunigalsidase alfa	29	6,76 (5,44)	-	-	-
		Agalsidase beta	18	7,89 (4,99)			
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	23	4,74 (5,78)			
		Agalsidase beta	7	5,00 (6,45)			
Woche 104	Männlich	Pegunigalsidase alfa	22	6,55 (5,96)	-0,30 (0,64) [-1,56; 0,96]	-0,98 (0,99) [-2,93; 0,97]	0,3227
		Agalsidase beta	16	8,50 (4,94)	0,68 (0,75) [-0,81; 2,17]		
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	22	4,55 (5,99)	-0,32 (0,53) [-1,38; 0,73]	-1,61 (1,08) [-3,75; 0,53]	0,1385
		Agalsidase beta	7	6,29 (5,68)	1,29 (0,94) [-0,58; 3,15]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'kardiovaskulär'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,6664							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.1.1.2.7 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'kardiovaskulär'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,6450							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Ja	Pegunigalsidase alfa	26	7,77 (5,72)	-	-	-
		Agalsidase beta	16	8,50 (4,99)			
	Nein	Pegunigalsidase alfa	26	3,96 (4,93)			
		Agalsidase beta	9	4,56 (5,61)			
Woche 104	Ja	Pegunigalsidase alfa	21	7,33 (6,27)	-0,40 (0,63) [-1,66; 0,85]	-1,44 (0,98) [-3,38; 0,50]	0,1446
		Agalsidase beta	15	9,47 (4,39)	1,03 (0,75) [-0,44; 2,51]		
	Nein	Pegunigalsidase alfa	23	3,91 (5,34)	-0,23 (0,56) [-1,34; 0,89]	-0,76 (1,10) [-2,95; 1,43]	0,4935
		Agalsidase beta	8	4,75 (5,31)	0,53 (0,95) [-1,35; 2,42]		
Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.1.1.2.8 UPCR-Kategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'kardiovaskulär'							
Subgruppe (ITT): UPCR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,3458							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	0,5 < und < 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	9	8,11 (5,90)	-	-	-
		Agalsidase beta	2	1,50 (0,71)			
	≤ 0,5 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	36	5,11 (5,59)			
		Agalsidase beta	20	7,30 (5,40)			
	≥ 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	7	6,86 (5,27)			
		Agalsidase beta	3	9,33 (6,43)			
Woche 104	0,5 < und < 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	7	7,57 (6,05)	-0,53 (0,75) [-2,15; 1,09]	-3,21 (1,63) [-6,72; 0,30]	0,0701
		Agalsidase beta	2	4,50 (4,95)	2,68 (1,40) [-0,35; 5,70]		
	≤ 0,5 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	31	4,97 (5,79)	-0,07 (0,45) [-0,95; 0,81]	-0,66 (0,74) [-2,12; 0,80]	0,3709
		Agalsidase beta	18	7,72 (5,30)	0,59 (0,59) [-0,57; 1,75]		
	≥ 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	6	6,17 (7,41)	-1,22 (2,31) [-6,07; 3,63]	-2,33 (4,00) [-10,73; 6,08]	0,5682
		Agalsidase beta	3	10,67 (4,16)	1,11 (3,27) [-5,76; 7,97]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.1.1.3 Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'allgemein'

2.1.1.1.3.1 ADA-Status zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'allgemein'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,2039							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Negativ	Pegunigalsidase alfa	34	5,06 (2,53)	-	-	-
		Agalsidase beta	17	5,88 (2,12)			
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	18	8,33 (2,83)			
		Agalsidase beta	8	9,12 (3,00)			
Woche 104	Negativ	Pegunigalsidase alfa	30	4,57 (3,08)	-0,39 (0,28) [-0,94; 0,17]	0,01 (0,48) [-0,94; 0,95]	0,9869
		Agalsidase beta	16	5,44 (2,56)	-0,40 (0,39) [-1,16; 0,37]		
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	14	7,86 (3,68)	-0,79 (0,47) [-1,72; 0,14]	-1,18 (0,80) [-2,78; 0,42]	0,1459
		Agalsidase beta	7	9,57 (4,04)	0,39 (0,65) [-0,91; 1,69]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.1.1.3.2 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'allgemein'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,8425							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	33	6,33 (3,06)	-	-	-

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'allgemein'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,8425							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	> -5	Agalsidase beta	19	6,58 (2,99)			
		Pegunigalsidase alfa	19	5,95 (3,10)			
		Agalsidase beta	6	8,00 (2,10)			
Woche 104	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	28	5,68 (3,87)	-0,53 (0,35) [-1,22; 0,15]	-0,43 (0,55) [-1,51; 0,64]	0,4279
		Agalsidase beta	19	6,47 (3,76)	-0,10 (0,42) [-0,93; 0,73]		
	> -5	Pegunigalsidase alfa	16	5,50 (3,16)	-0,59 (0,25) [-1,09; -0,08]	-0,28 (0,57) [-1,42; 0,87]	0,6305
		Agalsidase beta	4	7,75 (2,50)	-0,31 (0,51) [-1,33; 0,70]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.1.1.3.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'allgemein'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,1763							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	28	5,39 (3,41)	-	-	-
		Agalsidase beta	11	6,45 (2,46)			
	≤60	Pegunigalsidase alfa	13	7,38 (1,71)			

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'allgemein'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,1763							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	>90	Agalsidase beta	8	9,12 (2,53)			
		Pegunigalsidase alfa	11	6,82 (2,89)			
		Agalsidase beta	6	4,83 (1,94)			
Woche 104	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	26	5,12 (3,63)	-0,28 (0,22) [-0,71; 0,14]	0,05 (0,42) [-0,78; 0,87]	0,9112
		Agalsidase beta	9	6,00 (3,08)	-0,33 (0,36) [-1,04; 0,37]		
	≤60	Pegunigalsidase alfa	10	7,20 (3,36)	-0,15 (0,82) [-1,80; 1,51]	-0,10 (1,25) [-2,60; 2,41]	0,9391
		Agalsidase beta	8	9,12 (3,80)	-0,05 (0,91) [-1,89; 1,79]		
	>90	Pegunigalsidase alfa	8	5,25 (3,62)	-1,69 (0,38) [-2,46; -0,92]	-1,34 (0,62) [-2,59; -0,08]	0,0370
		Agalsidase beta	6	4,50 (2,07)	-0,35 (0,47) [-1,30; 0,60]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.1.1.3.4 Klassifizierung des Morbus Fabry

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'allgemein'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,4720							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	27	7,30 (3,34)	-	-	-
		Agalsidase beta	14	7,36 (3,18)			
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	25	5,00 (2,20)			
		Agalsidase beta	11	6,36 (2,34)			
Woche 104	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	21	6,71 (4,15)	-0,65 (0,36) [-1,36; 0,06]	-0,11 (0,59) [-1,28; 1,06]	0,8543
		Agalsidase beta	12	6,83 (3,69)	-0,54 (0,47) [-1,47; 0,39]		
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	23	4,61 (2,71)	-0,43 (0,34) [-1,11; 0,25]	-0,72 (0,61) [-1,94; 0,49]	0,2409
		Agalsidase beta	11	6,55 (3,59)	0,29 (0,50) [-0,71; 1,29]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.1.1.3.5 Region

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'allgemein'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,4008							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Europa	Pegunigalsidase alfa	19	6,00 (3,04)	-	-	-
		Agalsidase beta	7	6,43 (1,51)			

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'allgemein'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,4008							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Woche 104	USA	Pegunigalsidase alfa	33	6,30 (3,10)			
		Agalsidase beta	18	7,11 (3,22)			
	Europa	Pegunigalsidase alfa	18	4,94 (3,10)	-0,97 (0,30) [-1,57; -0,37]	-0,69 (0,59) [-1,88; 0,49]	0,2463
		Agalsidase beta	6	6,33 (1,97)	-0,27 (0,51) [-1,29; 0,74]		
	USA	Pegunigalsidase alfa	26	6,08 (3,89)	-0,24 (0,34) [-0,92; 0,43]	-0,02 (0,55) [-1,09; 1,06]	0,9765
		Agalsidase beta	17	6,82 (4,02)	-0,23 (0,43) [-1,07; 0,61]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.1.1.3.6 Geschlecht

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'allgemein'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,9606							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Männlich	Pegunigalsidase alfa	29	7,17 (3,27)	-	-	-
		Agalsidase beta	18	7,61 (2,87)			
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	23	4,96 (2,25)			
		Agalsidase beta	7	5,14 (1,86)			

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'allgemein'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,9606							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Woche 104	Männlich	Pegunigalsidase alfa	22	6,73 (4,05)	-0,57 (0,36) [-1,29; 0,14]	-0,35 (0,56) [-1,46; 0,77]	0,5384
		Agalsidase beta	16	7,44 (3,63)	-0,23 (0,43) [-1,08; 0,62]		
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	22	4,50 (2,72)	-0,42 (0,33) [-1,08; 0,25]	-0,30 (0,68) [-1,66; 1,05]	
		Agalsidase beta	7	5,00 (2,94)	-0,11 (0,59) [-1,29; 1,07]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.1.1.3.7 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'allgemein'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,9151							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Ja	Pegunigalsidase alfa	26	6,58 (2,83)	-	-	-
		Agalsidase beta	16	8,06 (2,77)			
	Nein	Pegunigalsidase alfa	26	5,81 (3,26)			
		Agalsidase beta	9	4,89 (1,54)			
Woche 104	Ja	Pegunigalsidase alfa	21	6,43 (3,59)	-0,15 (0,42) [-0,97; 0,68]	-0,13 (0,65) [-1,41; 1,15]	0,8422

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'allgemein'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,9151							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	15	8,00 (3,61)	-0,02 (0,49) [-0,99; 0,96]		
	Nein	Pegunigalsidase alfa	23	4,87 (3,51)	-0,87 (0,23) [-1,33; -0,41]	-0,21 (0,46) [-1,13; 0,70]	0,6434
		Agalsidase beta	8	4,25 (1,83)	-0,66 (0,40) [-1,44; 0,13]		
<p><i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i></p>							
<p>ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures</p>							

2.1.1.1.3.8 UPCR-Kategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'allgemein'							
Subgruppe (ITT): UPCR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,6565							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	0,5 < und < 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	9	6,11 (2,03)	-	-	-
		Agalsidase beta	2	4,50 (0,71)			
	≤ 0,5 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	36	6,00 (3,29)			
		Agalsidase beta	20	7,05 (2,98)			
	≥ 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	7	7,29 (2,98)			
		Agalsidase beta	3	7,67 (2,08)			
Woche 104	0,5 < und < 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	7	5,29 (1,70)	-0,48 (0,40) [-1,35; 0,39]	0,57 (0,86) [-1,29; 2,43]	0,5183

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'allgemein'							
Subgruppe (ITT): UPCR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,6565							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	2	4,00 (0,00)	-1,05 (0,76) [-2,68; 0,58]		
	≤ 0,5 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	31	5,45 (3,88)	-0,45 (0,26) [-0,97; 0,07]	-0,24 (0,44) [-1,11; 0,62]	0,5759
		Agalsidase beta	18	6,83 (3,40)	-0,21 (0,35) [-0,89; 0,48]		
	≥ 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	6	6,83 (3,87)	-0,83 (1,21) [-3,37; 1,70]	-0,83 (2,09) [-5,22; 3,56]	0,6947
		Agalsidase beta	3	7,67 (5,69)	0,00 (1,71) [-3,58; 3,58]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.1.1.4 Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'neurologisch'

2.1.1.1.4.1 ADA-Status zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'neurologisch'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,1568							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Negativ	Pegunigalsidase alfa	34	6,71 (3,69)	-	-	-
		Agalsidase beta	17	7,24 (4,59)			
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	18	8,94 (4,81)			
		Agalsidase beta	8	7,50 (5,55)			

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'neurologisch'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,1568							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Woche 104	Negativ	Pegunigalsidase alfa	30	5,87 (3,96)	-0,68 (0,42) [-1,50; 0,15]	-1,67 (0,71) [-3,07; -0,27]	0,0194
		Agalsidase beta	16	8,38 (4,79)	1,00 (0,57) [-0,13; 2,12]		
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	14	10,00 (4,56)	0,02 (0,57) [-1,12; 1,17]	0,05 (0,99) [-1,92; 2,03]	
		Agalsidase beta	7	7,29 (6,10)	-0,03 (0,80) [-1,63; 1,57]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.1.1.4.2 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'neurologisch'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,3273							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	33	7,70 (4,23)	-	-	-
		Agalsidase beta	19	7,42 (4,98)			
	> -5	Pegunigalsidase alfa	19	7,11 (4,24)			
		Agalsidase beta	6	7,00 (4,60)			
Woche 104	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	28	6,96 (4,22)	-0,87 (0,46) [-1,79; 0,04]	-1,46 (0,73) [-2,90; -0,02]	0,0475

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'neurologisch'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,3273							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	19	8,05 (4,98)	0,58 (0,56) [-0,53; 1,70]		
	> -5	Pegunigalsidase alfa	16	7,56 (5,19)	0,36 (0,29) [-0,22; 0,95]	-0,51 (0,63) [-1,77; 0,74]	0,4152
		Agalsidase beta	4	8,00 (6,48)	0,88 (0,55) [-0,23; 1,98]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.1.1.4.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'neurologisch'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,3745							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	28	6,89 (4,29)	-	-	-
		Agalsidase beta	11	7,18 (5,46)			
	≤60	Pegunigalsidase alfa	13	7,77 (4,49)			
		Agalsidase beta	8	8,50 (4,96)			
	>90	Pegunigalsidase alfa	11	8,64 (3,70)			
		Agalsidase beta	6	6,00 (3,52)			
Woche 104	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	26	6,46 (4,37)	-0,61 (0,37) [-1,35; 0,13]	-1,09 (0,73) [-2,53; 0,35]	0,1355

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'neurologisch'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,3745							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	9	7,67 (5,89)	0,48 (0,62) [-0,75; 1,72]		
	≤60	Pegunigalsidase alfa	10	8,30 (5,58)	0,17 (0,81) [-1,47; 1,80]	0,17 (1,22) [-2,28; 2,62]	0,8915
		Agalsidase beta	8	8,50 (5,86)	0,00 (0,91) [-1,83; 1,83]		
	>90	Pegunigalsidase alfa	8	8,12 (3,76)	-0,50 (0,89) [-2,29; 1,29]	-2,47 (1,44) [-5,37; 0,44]	0,0942
		Agalsidase beta	6	8,00 (3,22)	1,97 (1,13) [-0,30; 4,24]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.1.1.4.4 Klassifizierung des Morbus Fabry

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'neurologisch'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,9877							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	27	7,22 (4,54)	-	-	-
		Agalsidase beta	14	7,14 (4,55)			
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	25	7,76 (3,88)			
		Agalsidase beta	11	7,55 (5,32)			

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'neurologisch'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,9877							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Woche 104	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	21	6,95 (4,70)	-0,57 (0,50) [-1,56; 0,42]	-1,14 (0,82) [-2,78; 0,49]	0,1671
		Agalsidase beta	12	7,75 (4,43)	0,57 (0,65) [-0,72; 1,87]		
	Nicht- klassisch	Pegunigalsidase alfa	23	7,39 (4,50)	-0,30 (0,49) [-1,27; 0,66]	-1,13 (0,86) [-2,84; 0,58]	
		Agalsidase beta	11	8,36 (5,95)	0,82 (0,71) [-0,59; 2,23]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.1.1.4.5 Region

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'neurologisch'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,8847							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Europa	Pegunigalsidase alfa	19	7,21 (5,09)	-	-	-
		Agalsidase beta	7	6,57 (5,13)			
	USA	Pegunigalsidase alfa	33	7,64 (3,67)			
		Agalsidase beta	18	7,61 (4,79)			
Woche 104	Europa	Pegunigalsidase alfa	18	6,83 (5,29)	-0,58 (0,53) [-1,63; 0,47]	-1,18 (1,05) [-3,28; 0,92]	0,2653

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'neurologisch'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,8847							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	6	7,83 (6,31)	0,60 (0,91) [-1,22; 2,41]		
	USA	Pegunigalsidase alfa	26	7,42 (4,04)	-0,32 (0,45) [-1,20; 0,57]	-1,00 (0,72) [-2,41; 0,42]	0,1666
		Agalsidase beta	17	8,12 (4,83)	0,68 (0,56) [-0,43; 1,78]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.1.1.4.6 Geschlecht

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'neurologisch'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,7004							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Männlich	Pegunigalsidase alfa	29	7,59 (4,74)	-	-	-
		Agalsidase beta	18	7,22 (4,60)			
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	23	7,35 (3,51)			
		Agalsidase beta	7	7,57 (5,68)			
Woche 104	Männlich	Pegunigalsidase alfa	22	7,50 (5,25)	-0,46 (0,49) [-1,43; 0,50]	-1,27 (0,76) [-2,76; 0,23]	0,0955
Agalsidase beta		16	8,12 (5,03)	0,80 (0,58) [-0,33; 1,94]			

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'neurologisch'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,7004							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	22	6,86 (3,81)	-0,45 (0,48) [-1,41; 0,51]	-0,79 (0,98) [-2,75; 1,16]	0,4239
		Agalsidase beta	7	7,86 (5,67)	0,34 (0,86) [-1,36; 2,04]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.1.1.4.7 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'neurologisch'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,5109							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Ja	Pegunigalsidase alfa	26	6,73 (3,78)	-	-	-
		Agalsidase beta	16	7,69 (4,32)			
	Nein	Pegunigalsidase alfa	26	8,23 (4,54)			
		Agalsidase beta	9	6,67 (5,79)			
Woche 104	Ja	Pegunigalsidase alfa	21	6,95 (3,94)	-0,21 (0,46) [-1,12; 0,70]	-0,69 (0,71) [-2,09; 0,72]	0,3347
		Agalsidase beta	15	7,93 (5,15)	0,48 (0,54) [-0,60; 1,55]		
	Nein	Pegunigalsidase alfa	23	7,39 (5,11)	-0,55 (0,52) [-1,58; 0,47]	-1,51 (1,02) [-3,53; 0,52]	0,1432

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'neurologisch'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,5109							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	8	8,25 (5,37)	0,95 (0,88) [-0,79; 2,69]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.1.1.5 Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'renal'

2.1.1.1.5.1 Klassifizierung des Morbus Fabry

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'renal'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,1602							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	27	4,59 (2,87)	-	-	-
		Agalsidase beta	14	4,86 (3,21)			
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	25	3,20 (3,46)			
		Agalsidase beta	11	2,55 (2,70)			
Woche 104	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	21	4,00 (3,35)	-0,38 (0,60) [-1,56; 0,81]	-0,42 (0,98) [-2,36; 1,52]	0,6694
		Agalsidase beta	12	5,00 (3,02)	0,04 (0,78) [-1,50; 1,58]		
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	23	2,26 (2,65)	-1,08 (0,57) [-2,21; 0,04]	-2,39 (1,01) [-4,39; -0,40]	0,0190
		Agalsidase beta	11	4,00 (2,53)	1,31 (0,83) [-0,33; 2,95]		

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'renal'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,1602							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.1.1.5.2 Region

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'renal'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,0991							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Europa	Pegunigalsidase alfa	19	5,05 (3,49)	-	-	-
		Agalsidase beta	7	4,57 (3,60)			
	USA	Pegunigalsidase alfa	33	3,27 (2,91)			
		Agalsidase beta	18	3,56 (3,03)			
Woche 104	Europa	Pegunigalsidase alfa	18	3,56 (3,33)	-1,33 (0,63) [-2,58; -0,08]	-3,20 (1,23) [-5,65; -0,76]	0,0111
		Agalsidase beta	6	6,67 (2,07)	1,87 (1,05) [-0,23; 3,97]		
	USA	Pegunigalsidase alfa	26	2,77 (2,94)	-0,42 (0,54) [-1,49; 0,65]	-0,72 (0,87) [-2,44; 0,99]	0,4041
		Agalsidase beta	17	3,76 (2,63)	0,30 (0,68) [-1,03; 1,64]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.1.1.5.3 Geschlecht

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'renal'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,6529							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Männlich	Pegunigalsidase alfa	29	4,55 (2,97)	-	-	-
		Agalsidase beta	18	4,67 (3,14)			
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	23	3,13 (3,40)			
		Agalsidase beta	7	1,71 (2,14)			
Woche 104	Männlich	Pegunigalsidase alfa	22	4,00 (3,27)	-0,56 (0,60) [-1,74; 0,63]	-1,08 (0,93) [-2,91; 0,75]	0,2444
		Agalsidase beta	16	5,25 (2,82)	0,53 (0,70) [-0,87; 1,92]		
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	22	2,18 (2,68)	-0,97 (0,57) [-2,12; 0,17]	-1,76 (1,18) [-4,09; 0,58]	0,1396
		Agalsidase beta	7	2,86 (1,95)	0,78 (1,02) [-1,25; 2,82]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.1.1.5.4 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'renal'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,2896							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Ja	Pegunigalsidase alfa	26	4,46 (2,85)	-	-	-
		Agalsidase beta	16	5,25 (2,82)			

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'renal'								
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,2896								
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert	
Woche 104	Nein	Pegunigalsidase alfa	26	3,38 (3,52)			0,7411	
		Agalsidase beta	9	1,33 (2,00)				
	Ja	Pegunigalsidase alfa	21	4,57 (2,91)	0,30 (0,59) [-0,87; 1,48]	-0,30 (0,92) [-2,12; 1,51]		0,0906
		Agalsidase beta	15	5,87 (2,07)	0,61 (0,70) [-0,78; 1,99]			
	Nein	Pegunigalsidase alfa	23	1,74 (2,65)	-1,52 (0,51) [-2,54; -0,50]	-1,77 (1,04) [-3,83; 0,29]		
		Agalsidase beta	8	2,00 (2,14)	0,25 (0,89) [-1,51; 2,01]			
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>								
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures								

2.1.1.2 Responderanalysen für den MSSI-Score

2.1.1.2.1 Mainz Severity Score Index (MSSI) < 20 (Woche 104)

2.1.1.2.1.1 Geschlecht

Mainz Severity Score Index (MSSI) < 20 (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,6289						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	22	16 (72,7)				0,6424

Mainz Severity Score Index (MSSI) < 20 (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,6289						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Agalsidase beta	7	4 (57,1)	1,27 [0,64; 2,54]	2,00 [0,34; 11,70]	0,16 [-0,26; 0,57]	
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	24	8 (33,3)	1,78 [0,55; 5,71]	2,17 [0,48; 9,86]	0,15 [-0,12; 0,41]	0,4732
Agalsidase beta	16	3 (18,8)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.1.2.1.2 Region

Mainz Severity Score Index (MSSI) < 20 (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,3972						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	18	10 (55,6)	3,33 [0,53; 20,91]	6,25 [0,60; 64,86]	0,39 [0,01; 0,77]	0,1660
Agalsidase beta	6	1 (16,7)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	28	14 (50,0)	1,42 [0,67; 2,98]	1,83 [0,53; 6,34]	0,15 [-0,15; 0,44]	0,3723
Agalsidase beta	17	6 (35,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.1.2.1.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Mainz Severity Score Index (MSSI) < 20 (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,1238						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤60						

Mainz Severity Score Index (MSSI) < 20 (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,1238						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	8	5 (62,5)	0,75 [0,39; 1,43]	0,33 [0,03; 4,40]	-0,21 [-0,66; 0,24]	0,5804
Agalsidase beta	6	5 (83,3)				
>90						
Pegunigalsidase alfa	27	17 (63,0)	2,83 [0,81; 9,95]	5,95 [1,03; 34,41]	0,41 [0,08; 0,73]	0,0551
Agalsidase beta	9	2 (22,2)				
60 < und ≤ 90						
Pegunigalsidase alfa	11	2 (18,2)	3,75 [0,20; 68,89]	4,47 [0,19; 106,96]	0,18 [-0,05; 0,41]	0,4854
Agalsidase beta	8	0 (0,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.1.2.1.4 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Mainz Severity Score Index (MSSI) < 20 (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,7179						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	30	15 (50,0)	1,58 [0,75; 3,36]	2,17 [0,65; 7,22]	0,18 [-0,09; 0,46]	0,2467
Agalsidase beta	19	6 (31,6)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	16	9 (56,2)	2,25 [0,39; 12,97]	3,86 [0,33; 45,57]	0,31 [-0,18; 0,80]	0,5820
Agalsidase beta	4	1 (25,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.1.2.1.5 Klassifizierung des Morbus Fabry

Mainz Severity Score Index (MSSI) < 20 (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,6555						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	23	8 (34,8)	1,39 [0,45; 4,30]	1,60 [0,34; 7,64]	0,10 [-0,22; 0,41]	0,7091
Agalsidase beta	12	3 (25,0)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	23	16 (69,6)	1,91 [0,84; 4,37]	4,00 [0,88; 18,21]	0,33 [-0,01; 0,67]	0,1345
Agalsidase beta	11	4 (36,4)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.1.2.1.6 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Mainz Severity Score Index (MSSI) < 20 (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,1419						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	23	17 (73,9)	0,99 [0,62; 1,57]	0,94 [0,15; 6,01]	-0,01 [-0,36; 0,34]	1,0000
Agalsidase beta	8	6 (75,0)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	23	7 (30,4)	4,57 [0,62; 33,46]	6,12 [0,67; 56,09]	0,24 [0,01; 0,46]	0,1143
Agalsidase beta	15	1 (6,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.1.2.1.7 ADA-Status zu Baseline

Mainz Severity Score Index (MSSI) < 20 (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,1996						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	31	21 (67,7)	2,17 [1,01; 4,66]	4,62 [1,26; 16,92]	0,36 [0,08; 0,65]	0,0294
Agalsidase beta	16	5 (31,2)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	15	3 (20,0)	0,70 [0,15; 3,29]	0,62 [0,08; 4,96]	-0,09 [-0,48; 0,31]	1,0000
Agalsidase beta	7	2 (28,6)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.1.2.2 Mainz Severity Score Index (MSSI) ≤ 40 (Woche 104)

2.1.1.2.2.1 Geschlecht

Mainz Severity Score Index (MSSI) ≤ 40 (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,9857						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	22	21 (95,5)	1,00 [0,81; 1,23]	0,96 [0,04; 26,08]	-0,05 [-0,13; 0,04]	1,0000
Agalsidase beta	7	7 (100,0)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	24	21 (87,5)	1,00 [0,79; 1,27]	1,00 [0,15; 6,77]	0,00 [-0,21; 0,21]	1,0000
Agalsidase beta	16	14 (87,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.1.2.2 Region

Mainz Severity Score Index (MSSI) ≤ 40 (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,7181						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	18	16 (88,9)	1,07 [0,72; 1,58]	1,60 [0,12; 21,59]	0,06 [-0,28; 0,39]	1,0000
Agalsidase beta	6	5 (83,3)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	28	26 (92,9)	0,99 [0,84; 1,15]	0,81 [0,07; 9,70]	-0,01 [-0,16; 0,13]	1,0000
Agalsidase beta	17	16 (94,1)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.1.2.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Mainz Severity Score Index (MSSI) ≤ 40 (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,6268						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤60						
Pegunigalsidase alfa	8	8 (100,0)	1,00 -	-	0,00 [0,00; 0,00]	1,0000
Agalsidase beta	6	6 (100,0)				
>90						
Pegunigalsidase alfa	27	25 (92,6)	0,96 [0,80; 1,15]	0,54 [0,02; 12,24]	-0,07 [-0,17; 0,02]	1,0000
Agalsidase beta	9	9 (100,0)				
60 < und ≤ 90						
Pegunigalsidase alfa	11	9 (81,8)	1,09 [0,67; 1,78]	1,50 [0,16; 13,75]	0,07 [-0,31; 0,44]	1,0000
Agalsidase beta	8	6 (75,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.1.2.2.4 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Mainz Severity Score Index (MSSI) ≤ 40 (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 1,0000						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	30	26 (86,7)	0,97 [0,79; 1,19]	0,76 [0,13; 4,65]	-0,03 [-0,21; 0,16]	1,0000
Agalsidase beta	19	17 (89,5)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	16	16 (100,0)	1,00 [1,00; 1,00]	1,00 [1,00; 1,00]	0,00 [0,00; 0,00]	1,0000
Agalsidase beta	4	4 (100,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.1.2.2.5 Klassifizierung des Morbus Fabry

Mainz Severity Score Index (MSSI) ≤ 40 (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,5137						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	23	20 (87,0)	0,95 [0,75; 1,20]	0,61 [0,06; 6,55]	-0,05 [-0,26; 0,16]	1,0000
Agalsidase beta	12	11 (91,7)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	23	22 (95,7)	1,05 [0,86; 1,29]	2,20 [0,12; 38,83]	0,05 [-0,14; 0,24]	1,0000
Agalsidase beta	11	10 (90,9)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.1.2.2.6 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Mainz Severity Score Index (MSSI) ≤ 40 (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,9471						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	23	22 (95,7)	0,99 [0,82; 1,20]	0,88 [0,03; 23,84]	-0,04 [-0,13; 0,04]	1,0000
Agalsidase beta	8	8 (100,0)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	23	20 (87,0)	1,00 [0,78; 1,29]	1,03 [0,15; 7,00]	0,00 [-0,22; 0,22]	1,0000
Agalsidase beta	15	13 (86,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.1.2.2.7 ADA-Status zu Baseline

Mainz Severity Score Index (MSSI) ≤ 40 (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,9477						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	31	29 (93,5)	1,00 [0,85; 1,17]	0,97 [0,08; 11,54]	0,00 [-0,15; 0,14]	1,0000
Agalsidase beta	16	15 (93,8)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	15	13 (86,7)	1,01 [0,70; 1,45]	1,08 [0,08; 14,41]	0,01 [-0,30; 0,32]	1,0000
Agalsidase beta	7	6 (85,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.1.2.3 Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score (MID = 15 %) Kategorie 'renal' (Woche 104)

2.1.1.2.3.1 Region

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'renal' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,6167						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	18	4 (22,2)	3,32 [0,20; 54,00]	4,03 [0,19; 86,45]	0,22 [0,03; 0,41]	0,5392
Agalsidase beta	6	0 (0,0)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	26	7 (26,9)	1,53 [0,46; 5,10]	1,72 [0,38; 7,85]	0,09 [-0,16; 0,34]	0,7142
Agalsidase beta	17	3 (17,6)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.1.2.3.2 eGFR-Kategorie zu Baseline

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'renal' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,9838						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤60						
Pegunigalsidase alfa	8	0 (0,0)	-	-	0,00 [0,00; 0,00]	1,0000
Agalsidase beta	6	0 (0,0)				
>90						
Pegunigalsidase alfa	26	9 (34,6)	1,56 [0,41; 5,90]	1,85 [0,32; 10,85]	0,12 [-0,20; 0,45]	0,6855
Agalsidase beta	9	2 (22,2)				
60 < und ≤ 90						
Pegunigalsidase alfa	10	2 (20,0)	1,60 [0,17; 14,63]	1,75 [0,13; 23,70]	0,07 [-0,26; 0,41]	1,0000
Agalsidase beta	8	1 (12,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'renal' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,9838						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2 Morbidität: Veränderung des Schmerzerlebens gemessen anhand des BPI-SF

2.1.2.1 Veränderung der BPI-SF-Scores gegenüber Baseline

2.1.2.1.1 Veränderung gegenüber Baseline in 'stärkster Schmerz'

2.1.2.1.1.1 ADA-Status zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'stärkster Schmerz'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,3828							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Negativ	Pegunigalsidase alfa	34	3,44 (2,80)	-	-	-
		Agalsidase beta	17	1,94 (2,61)			
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	18	3,56 (3,22)			
		Agalsidase beta	8	3,88 (2,90)			
Woche 104	Negativ	Pegunigalsidase alfa	30	2,77 (3,21)	-0,30 (0,53) [-1,35; 0,75]	-0,96 (0,91) [-2,75; 0,83]	0,2923
		Agalsidase beta	16	2,94 (3,34)	0,66 (0,73) [-0,79; 2,10]		
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	15	4,40 (3,60)	0,47 (0,71) [-0,94; 1,89]	0,44 (1,31) [-2,18; 3,06]	0,7415
		Agalsidase beta	6	3,17 (3,82)	0,04 (1,11) [-2,17; 2,24]		
Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline							

Veränderung gegenüber Baseline in 'stärkster Schmerz'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,3828							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.1.2 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'stärkster Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,9681							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	33	3,88 (2,97)	-	-	-
		Agalsidase beta	19	2,32 (2,75)			
	> -5	Pegunigalsidase alfa	19	2,79 (2,78)			
		Agalsidase beta	6	3,33 (3,08)			
Woche 104	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	29	3,76 (3,41)	-0,01 (0,55) [-1,09; 1,08]	-0,43 (0,88) [-2,17; 1,31]	0,6254
		Agalsidase beta	19	2,95 (3,37)	0,43 (0,69) [-0,93; 1,78]		
	> -5	Pegunigalsidase alfa	16	2,50 (3,33)	-0,14 (0,71) [-1,56; 1,27]	-0,51 (1,75) [-4,00; 2,98]	0,7712
		Agalsidase beta	3	3,33 (4,16)	0,37 (1,59) [-2,82; 3,55]		
Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.1.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'stärkster Schmerz'								
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,3390								
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert	
Baseline	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	28	3,32 (3,13)	-	-	-	
		Agalsidase beta	11	2,55 (3,01)				
	≤60	Pegunigalsidase alfa	13	3,46 (2,50)				
		Agalsidase beta	8	3,62 (2,62)				
	>90	Pegunigalsidase alfa	11	3,91 (3,05)				
		Agalsidase beta	6	1,17 (2,40)				
Woche 104	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	27	2,67 (3,10)	-0,48 (0,52) [-1,51; 0,55]	-1,76 (1,03) [-3,81; 0,28]	0,0908	
		Agalsidase beta	9	3,89 (3,79)	1,28 (0,89) [-0,48; 3,05]			
	≤60	Pegunigalsidase alfa	10	4,20 (3,55)	0,75 (0,89) [-1,03; 2,54]	0,73 (1,39) [-2,05; 3,51]	0,5995	
		Agalsidase beta	8	3,62 (3,34)	0,02 (1,06) [-2,11; 2,15]			
	>90	Pegunigalsidase alfa	8	4,38 (4,07)	0,31 (1,22) [-2,16; 2,77]	-0,24 (2,02) [-4,33; 3,85]	0,9067	
		Agalsidase beta	5	0,40 (0,89)	0,54 (1,58) [-2,64; 3,73]			
	<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
	ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.1.4 Klassifizierung des Morbus Fabry

Veränderung gegenüber Baseline in 'stärkster Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,7405							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	27	3,56 (3,13)	-	-	-
		Agalsidase beta	14	2,79 (2,72)			
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	25	3,40 (2,74)			
		Agalsidase beta	11	2,27 (3,00)			
Woche 104	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	22	3,55 (3,50)	0,06 (0,54) [-1,00; 1,13]	-0,75 (0,93) [-2,59; 1,09]	0,4222
		Agalsidase beta	11	3,45 (3,21)	0,82 (0,76) [-0,69; 2,32]		
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	23	3,09 (3,36)	-0,09 (0,67) [-1,42; 1,25]	-0,25 (1,20) [-2,62; 2,12]	0,8360
		Agalsidase beta	11	2,55 (3,64)	0,16 (0,99) [-1,79; 2,12]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.1.5 Region

Veränderung gegenüber Baseline in 'stärkster Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,3106							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Europa	Pegunigalsidase alfa	19	3,74 (2,92)	-	-	-
		Agalsidase beta	7	1,00 (1,29)			

Veränderung gegenüber Baseline in 'stärkster Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,3106							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Woche 104	USA	Pegunigalsidase alfa	33	3,33 (2,95)			
		Agalsidase beta	18	3,17 (3,01)			
	Europa	Pegunigalsidase alfa	17	3,59 (3,68)	0,16 (0,65) [-1,13; 1,45]	0,50 (1,28) [-2,05; 3,06]	0,6955
		Agalsidase beta	6	1,00 (1,55)	-0,34 (1,09) [-2,51; 1,83]		
	USA	Pegunigalsidase alfa	28	3,14 (3,27)	-0,20 (0,55) [-1,28; 0,89]	-1,09 (0,91) [-2,89; 0,71]	0,2331
		Agalsidase beta	16	3,75 (3,61)	0,89 (0,73) [-0,54; 2,33]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.1.6 Geschlecht

Veränderung gegenüber Baseline in 'stärkster Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,9479							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Männlich	Pegunigalsidase alfa	29	3,48 (3,03)	-	-	-
		Agalsidase beta	18	2,94 (2,73)			
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	23	3,48 (2,84)			
		Agalsidase beta	7	1,57 (2,94)			

Veränderung gegenüber Baseline in 'stärkster Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,9479							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Woche 104	Männlich	Pegunigalsidase alfa	23	3,48 (3,44)	0,01 (0,52) [-1,01; 1,03]	-0,46 (0,82) [-2,09; 1,17]	0,5750
		Agalsidase beta	15	3,33 (3,18)	0,47 (0,64) [-0,79; 1,74]		
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	22	3,14 (3,43)	-0,12 (0,73) [-1,58; 1,34]	-0,57 (1,50) [-3,56; 2,41]	
		Agalsidase beta	7	2,29 (3,95)	0,45 (1,31) [-2,14; 3,05]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.1.7 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'stärkster Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,3873							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Ja	Pegunigalsidase alfa	26	3,23 (2,90)	-	-	-
		Agalsidase beta	16	2,94 (2,69)			
	Nein	Pegunigalsidase alfa	26	3,73 (2,97)			
		Agalsidase beta	9	1,89 (3,02)			
Woche 104	Ja	Pegunigalsidase alfa	22	3,18 (3,14)	-0,03 (0,61) [-1,23; 1,16]	-0,97 (0,96) [-2,86; 0,92]	0,3098

Veränderung gegenüber Baseline in 'stärkster Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,3873							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	15	3,80 (3,47)	0,94 (0,74) [-0,52; 2,40]		
	Nein	Pegunigalsidase alfa	23	3,43 (3,69)	-0,15 (0,60) [-1,34; 1,04]	0,37 (1,23) [-2,07; 2,81]	0,7630
		Agalsidase beta	7	1,29 (2,63)	-0,52 (1,07) [-2,64; 1,60]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.2 Veränderung gegenüber Baseline in 'geringster Schmerz'

2.1.2.1.2.1 ADA-Status zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'geringster Schmerz'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,5352							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Negativ	Pegunigalsidase alfa	34	1,15 (1,69)	-	-	-
		Agalsidase beta	17	1,12 (2,12)			
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	18	0,94 (1,55)			
		Agalsidase beta	8	1,38 (1,69)			
Woche 104	Negativ	Pegunigalsidase alfa	30	1,33 (2,48)	0,23 (0,39) [-0,54; 1,01]	0,10 (0,67) [-1,22; 1,41]	0,8867
		Agalsidase beta	16	1,31 (2,41)	0,14 (0,54) [-0,92; 1,20]		

Veränderung gegenüber Baseline in 'geringster Schmerz'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,5352							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	15	1,60 (1,99)	0,43 (0,40) [-0,36; 1,22]	0,71 (0,73) [-0,75; 2,16]	0,3351
		Agalsidase beta	6	1,17 (2,04)	-0,28 (0,61) [-1,50; 0,94]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.2.2 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'geringster Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,5398							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	33	0,97 (1,24)	-	-	-
		Agalsidase beta	19	0,95 (1,58)			
	> -5	Pegunigalsidase alfa	19	1,26 (2,18)			
		Agalsidase beta	6	2,00 (2,90)			
Woche 104	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	29	1,34 (2,22)	0,44 (0,38) [-0,31; 1,19]	0,19 (0,61) [-1,02; 1,39]	0,7582
		Agalsidase beta	19	1,21 (2,25)	0,26 (0,48) [-0,69; 1,20]		
	> -5	Pegunigalsidase alfa	16	1,56 (2,53)	0,03 (0,45) [-0,87; 0,92]	0,94 (1,06) [-1,17; 3,04]	

Veränderung gegenüber Baseline in 'geringster Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,5398							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	3	1,67 (2,89)	-0,91 (0,96) [-2,82; 1,00]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.2.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'geringster Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,1411							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	28	0,86 (1,38)	-	-	-
		Agalsidase beta	11	1,73 (2,69)			
	≤60	Pegunigalsidase alfa	13	1,23 (1,48)			
		Agalsidase beta	8	1,12 (1,25)			
	>90	Pegunigalsidase alfa	11	1,45 (2,34)			
		Agalsidase beta	6	0,33 (0,52)			
Woche 104	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	27	0,78 (1,48)	-0,18 (0,29) [-0,76; 0,40]	-0,98 (0,58) [-2,13; 0,18]	0,0961
		Agalsidase beta	9	2,33 (2,87)	0,80 (0,50) [-0,20; 1,79]		
	≤60	Pegunigalsidase alfa	10	2,50 (3,47)	1,46 (0,80) [-0,14; 3,07]	1,70 (1,23) [-0,77; 4,16]	0,1738

Veränderung gegenüber Baseline in 'geringster Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,1411							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	8	0,88 (1,81)	-0,23 (0,93) [-2,11; 1,64]		
	>90	Pegunigalsidase alfa	8	2,25 (2,43)	0,37 (0,76) [-1,17; 1,91]	-0,15 (1,26) [-2,69; 2,39]	0,9087
		Agalsidase beta	5	0,00 (0,00)	0,51 (1,00) [-1,51; 2,54]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.2.4 Klassifizierung des Morbus Fabry

Veränderung gegenüber Baseline in 'geringster Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,6498							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	27	0,78 (1,40)	-	-	-
		Agalsidase beta	14	0,93 (1,27)			
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	25	1,40 (1,83)			
		Agalsidase beta	11	1,55 (2,62)			
Woche 104	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	22	1,23 (1,90)	0,42 (0,28) [-0,13; 0,97]	0,43 (0,48) [-0,52; 1,37]	0,3726
		Agalsidase beta	11	0,91 (1,58)	-0,01 (0,39) [-0,77; 0,76]		

Veränderung gegenüber Baseline in 'geringster Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,6498							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	23	1,61 (2,68)	0,10 (0,49) [-0,88; 1,07]	-0,02 (0,87) [-1,76; 1,71]	0,9773
		Agalsidase beta	11	1,64 (2,84)	0,12 (0,72) [-1,31; 1,55]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.2.5 Region

Veränderung gegenüber Baseline in 'geringster Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,1576							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Europa	Pegunigalsidase alfa	19	1,11 (1,73)	-	-	-
		Agalsidase beta	7	0,14 (0,38)			
	USA	Pegunigalsidase alfa	33	1,06 (1,60)			
		Agalsidase beta	18	1,61 (2,17)			
Woche 104	Europa	Pegunigalsidase alfa	17	1,88 (2,55)	0,81 (0,37) [0,07; 1,56]	0,93 (0,73) [-0,52; 2,39]	0,2049
		Agalsidase beta	6	0,00 (0,00)	-0,12 (0,63) [-1,37; 1,12]		
	USA	Pegunigalsidase alfa	28	1,14 (2,16)	-0,15 (0,37) [-0,87; 0,58]	-0,41 (0,61) [-1,61; 0,79]	0,5023

Veränderung gegenüber Baseline in 'geringster Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,1576							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	16	1,75 (2,52)	0,26 (0,49) [-0,69; 1,22]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.2.6 Geschlecht

Veränderung gegenüber Baseline in 'geringster Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,2702							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Männlich	Pegunigalsidase alfa	29	0,76 (1,35)	-	-	-
		Agalsidase beta	18	1,28 (1,90)			
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	23	1,48 (1,88)			
		Agalsidase beta	7	1,00 (2,24)			
Woche 104	Männlich	Pegunigalsidase alfa	23	1,22 (1,86)	0,38 (0,27) [-0,16; 0,92]	0,69 (0,43) [-0,16; 1,55]	0,1128
		Agalsidase beta	15	1,00 (1,77)	-0,31 (0,34) [-0,98; 0,35]		
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	22	1,64 (2,74)	0,13 (0,54) [-0,95; 1,21]	-0,62 (1,11) [-2,82; 1,58]	0,5767
		Agalsidase beta	7	1,86 (3,18)	0,75 (0,96) [-1,16; 2,67]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							

Veränderung gegenüber Baseline in 'geringster Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,2702							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.2.7 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'geringster Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,9096							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Ja	Pegunigalsidase alfa	26	1,12 (1,61)	-	-	-
		Agalsidase beta	16	1,38 (2,00)			
	Nein	Pegunigalsidase alfa	26	1,04 (1,68)			
		Agalsidase beta	9	0,89 (1,96)			
Woche 104	Ja	Pegunigalsidase alfa	22	1,45 (2,61)	0,41 (0,51) [-0,61; 1,42]	0,32 (0,81) [-1,28; 1,92]	0,6939
		Agalsidase beta	15	1,47 (2,33)	0,09 (0,62) [-1,15; 1,32]		
	Nein	Pegunigalsidase alfa	23	1,39 (2,04)	0,22 (0,28) [-0,34; 0,78]	0,21 (0,58) [-0,93; 1,35]	0,7211
		Agalsidase beta	7	0,86 (2,27)	0,01 (0,50) [-0,98; 1,01]		
Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.3 Veränderung gegenüber Baseline in 'durchschnittlicher Schmerz'

2.1.2.1.3.1 ADA-Status zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'durchschnittlicher Schmerz'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,5310							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Negativ	Pegunigalsidase alfa	34	2,35 (2,21)	-	-	-
		Agalsidase beta	17	2,12 (1,93)			
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	18	2,06 (2,10)			
		Agalsidase beta	8	2,50 (2,14)			
Woche 104	Negativ	Pegunigalsidase alfa	30	2,27 (2,88)	-0,01 (0,35) [-0,70; 0,69]	-0,19 (0,60) [-1,38; 0,99]	0,7456
		Agalsidase beta	16	2,44 (2,45)	0,19 (0,48) [-0,77; 1,14]		
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	15	3,40 (2,80)	1,05 (0,61) [-0,17; 2,26]	0,60 (1,11) [-1,62; 2,82]	0,5932
		Agalsidase beta	6	2,50 (2,88)	0,45 (0,93) [-1,41; 2,31]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.3.2 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'durchschnittlicher Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,4229							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	33	2,30 (2,02)	-	-	-

Veränderung gegenüber Baseline in 'durchschnittlicher Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,4229							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	> -5	Agalsidase beta	19	2,26 (1,88)			
		Pegunigalsidase alfa	19	2,16 (2,43)			
		Agalsidase beta	6	2,17 (2,40)			
Woche 104	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	29	2,83 (2,87)	0,45 (0,38) [-0,29; 1,19]	0,34 (0,60) [-0,84; 1,53]	0,5683
		Agalsidase beta	19	2,37 (2,41)	0,11 (0,47) [-0,82; 1,03]		
	> -5	Pegunigalsidase alfa	16	2,31 (2,94)	0,11 (0,58) [-1,04; 1,27]	-0,88 (1,40) [-3,68; 1,92]	0,5328
		Agalsidase beta	3	3,00 (3,61)	0,99 (1,28) [-1,56; 3,55]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.3.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'durchschnittlicher Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,1888							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	28	1,86 (2,03)	-	-	-
		Agalsidase beta	11	2,00 (2,19)			
	≤ 60	Pegunigalsidase alfa	13	2,54 (1,61)			

Veränderung gegenüber Baseline in 'durchschnittlicher Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,1888							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	>90	Agalsidase beta	8	3,38 (1,69)			
		Pegunigalsidase alfa	11	2,91 (2,91)			
		Agalsidase beta	6	1,17 (1,17)			
Woche 104	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	27	2,04 (2,58)	0,23 (0,36) [-0,50; 0,95]	-0,68 (0,72) [-2,12; 0,75]	0,3456
		Agalsidase beta	9	2,89 (2,98)	0,91 (0,62) [-0,33; 2,15]		
	≤60	Pegunigalsidase alfa	10	3,60 (3,17)	1,05 (0,57) [-0,10; 2,19]	1,37 (0,87) [-0,38; 3,12]	0,1229
		Agalsidase beta	8	3,12 (2,23)	-0,32 (0,66) [-1,65; 1,00]		
	>90	Pegunigalsidase alfa	8	3,50 (3,25)	0,11 (0,97) [-1,84; 2,06]	-0,24 (1,59) [-3,46; 2,98]	0,8812
		Agalsidase beta	5	0,60 (0,89)	0,35 (1,26) [-2,19; 2,89]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.3.4 Klassifizierung des Morbus Fabry

Veränderung gegenüber Baseline in 'durchschnittlicher Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,7286							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	27	1,85 (1,99)	-	-	-
		Agalsidase beta	14	2,50 (1,65)			
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	25	2,68 (2,29)			
		Agalsidase beta	11	1,91 (2,34)			
Woche 104	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	22	2,59 (2,77)	0,54 (0,45) [-0,35; 1,44]	0,23 (0,77) [-1,30; 1,75]	0,7704
		Agalsidase beta	11	2,64 (2,11)	0,32 (0,62) [-0,92; 1,55]		
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	23	2,70 (3,02)	0,10 (0,47) [-0,82; 1,03]	-0,17 (0,82) [-1,80; 1,47]	0,8406
		Agalsidase beta	11	2,27 (2,94)	0,27 (0,68) [-1,07; 1,61]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.3.5 Region

Veränderung gegenüber Baseline in 'durchschnittlicher Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,3127							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Europa	Pegunigalsidase alfa	19	2,63 (2,29)	-	-	-
		Agalsidase beta	7	1,43 (1,81)			

Veränderung gegenüber Baseline in 'durchschnittlicher Schmerz'								
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,3127								
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert	
Woche 104	USA	Pegunigalsidase alfa	33	2,03 (2,08)			0,4268	
		Agalsidase beta	18	2,56 (1,98)				
	Europa	Pegunigalsidase alfa	17	2,82 (3,19)	0,23 (0,55) [-0,86; 1,33]	0,85 (1,07) [-1,28; 2,98]		0,5284
		Agalsidase beta	6	1,00 (1,26)	-0,62 (0,91) [-2,44; 1,20]			
	USA	Pegunigalsidase alfa	28	2,54 (2,71)	0,40 (0,38) [-0,35; 1,16]	-0,40 (0,63) [-1,64; 0,85]		
		Agalsidase beta	16	3,00 (2,66)	0,80 (0,50) [-0,19; 1,79]			
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>								
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures								

2.1.2.1.3.6 Geschlecht

Veränderung gegenüber Baseline in 'durchschnittlicher Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,2577							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Männlich	Pegunigalsidase alfa	29	1,90 (1,93)	-	-	-
		Agalsidase beta	18	2,72 (1,84)			
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	23	2,70 (2,38)			
		Agalsidase beta	7	1,00 (1,83)			

Veränderung gegenüber Baseline in 'durchschnittlicher Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,2577							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Woche 104	Männlich	Pegunigalsidase alfa	23	2,57 (2,71)	0,55 (0,41) [-0,26; 1,36]	0,59 (0,65) [-0,70; 1,88]	0,3700
		Agalsidase beta	15	2,60 (2,29)	-0,04 (0,51) [-1,04; 0,96]		
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	22	2,73 (3,09)	0,11 (0,50) [-0,88; 1,09]	-0,78 (1,02) [-2,81; 1,24]	
		Agalsidase beta	7	2,14 (3,08)	0,89 (0,88) [-0,86; 2,64]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.3.7 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'durchschnittlicher Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,7028							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Ja	Pegunigalsidase alfa	26	2,15 (2,05)	-	-	-
		Agalsidase beta	16	2,75 (1,95)			
	Nein	Pegunigalsidase alfa	26	2,35 (2,30)			
		Agalsidase beta	9	1,33 (1,73)			
Woche 104	Ja	Pegunigalsidase alfa	22	2,55 (2,79)	0,34 (0,46) [-0,57; 1,25]	-0,09 (0,73) [-1,53; 1,34]	0,8963

Veränderung gegenüber Baseline in 'durchschnittlicher Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,7028							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	15	3,00 (2,33)	0,44 (0,56) [-0,67; 1,54]		
	Nein	Pegunigalsidase alfa	23	2,74 (3,00)	0,36 (0,42) [-0,48; 1,20]	0,34 (0,87) [-1,39; 2,07]	0,6989
		Agalsidase beta	7	1,29 (2,63)	0,02 (0,76) [-1,48; 1,53]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.3.8 UPCR-Kategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'durchschnittlicher Schmerz'							
Subgruppe (ITT): UPCR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,6778							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	0,5 < und < 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	9	2,00 (2,00)	-	-	-
		Agalsidase beta	2	1,00 (1,41)			
	≤ 0,5 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	36	2,31 (2,33)			
		Agalsidase beta	20	2,15 (2,06)			
	≥ 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	7	2,29 (1,60)			
		Agalsidase beta	3	3,67 (0,58)			
Woche 104	0,5 < und < 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	7	2,71 (2,87)	0,79 (0,85) [-1,02; 2,59]	0,61 (1,89) [-3,39; 4,61]	0,7513

Veränderung gegenüber Baseline in 'durchschnittlicher Schmerz'							
Subgruppe (ITT): UPCR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,6778							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	2	1,00 (1,41)	0,18 (1,68) [-3,39; 3,75]		
	≤ 0,5 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	32	2,78 (3,03)	0,39 (0,38) [-0,36; 1,15]	-0,25 (0,64) [-1,52; 1,01]	0,6936
		Agalsidase beta	17	2,65 (2,76)	0,65 (0,52) [-0,37; 1,67]		
	≥ 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	6	1,83 (2,14)	-0,47 (0,85) [-2,26; 1,31]	1,07 (1,49) [-2,05; 4,20]	0,4802
		Agalsidase beta	3	2,33 (1,15)	-1,55 (1,22) [-4,10; 1,00]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.4 Veränderung gegenüber Baseline in 'momentaner Schmerz'

2.1.2.1.4.1 ADA-Status zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'momentaner Schmerz'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,6920							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Negativ	Pegunigalsidase alfa	34	1,91 (2,30)	-	-	-
		Agalsidase beta	17	1,24 (2,44)			
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	18	1,67 (2,38)			
		Agalsidase beta	8	1,88 (2,03)			

Veränderung gegenüber Baseline in 'momentaner Schmerz'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,6920							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Woche 104	Negativ	Pegunigalsidase alfa	30	1,73 (3,16)	-0,22 (0,46) [-1,13; 0,69]	-0,52 (0,78) [-2,06; 1,03]	0,5101
		Agalsidase beta	16	1,69 (2,82)	0,30 (0,63) [-0,95; 1,55]		
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	15	2,33 (2,32)	0,34 (0,53) [-0,72; 1,40]	-0,03 (0,96) [-1,93; 1,88]	
		Agalsidase beta	6	1,33 (2,42)	0,37 (0,79) [-1,21; 1,95]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.4.2 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'momentaner Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,8634							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	33	1,97 (2,19)	-	-	-
		Agalsidase beta	19	1,11 (1,91)			
	> -5	Pegunigalsidase alfa	19	1,58 (2,55)			
		Agalsidase beta	6	2,50 (3,21)			
Woche 104	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	29	1,97 (2,93)	-0,09 (0,46) [-1,00; 0,82]	-0,33 (0,74) [-1,79; 1,12]	0,6514

Veränderung gegenüber Baseline in 'momentaner Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,8634							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	19	1,47 (2,52)	0,24 (0,57) [-0,89; 1,38]		
	> -5	Pegunigalsidase alfa	16	1,88 (2,92)	0,10 (0,58) [-1,06; 1,26]	-0,59 (1,29) [-3,16; 1,98]	0,6493
		Agalsidase beta	3	2,33 (4,04)	0,69 (1,15) [-1,60; 2,99]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.4.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'momentaner Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,6164							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	28	1,57 (1,97)	-	-	-
		Agalsidase beta	11	1,64 (2,98)			
	≤60	Pegunigalsidase alfa	13	1,85 (2,08)			
		Agalsidase beta	8	1,62 (1,77)			
	>90	Pegunigalsidase alfa	11	2,45 (3,30)			
		Agalsidase beta	6	0,83 (1,60)			
Woche 104	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	27	1,30 (2,25)	-0,25 (0,41) [-1,07; 0,57]	-1,34 (0,81) [-2,95; 0,27]	0,1010

Veränderung gegenüber Baseline in 'momentaner Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,6164							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	9	2,67 (3,46)	1,10 (0,70) [-0,29; 2,48]		
	≤60	Pegunigalsidase alfa	10	2,80 (3,88)	-0,19 (1,15) [-2,49; 2,12]	0,10 (1,78) [-3,47; 3,66]	0,9565
		Agalsidase beta	8	1,38 (2,07)	-0,29 (1,35) [-3,00; 2,43]		
	>90	Pegunigalsidase alfa	8	3,00 (3,25)	0,08 (0,75) [-1,44; 1,60]	-0,15 (1,24) [-2,66; 2,35]	0,9017
		Agalsidase beta	5	0,00 (0,00)	0,23 (0,99) [-1,76; 2,23]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.4.4 Klassifizierung des Morbus Fabry

Veränderung gegenüber Baseline in 'momentaner Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,3848							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	27	1,63 (2,27)	-	-	-
		Agalsidase beta	14	0,86 (1,46)			
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	25	2,04 (2,37)			
		Agalsidase beta	11	2,18 (2,96)			

Veränderung gegenüber Baseline in 'momentaner Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,3848							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Woche 104	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	22	1,73 (2,25)	-0,14 (0,38) [-0,90; 0,62]	-0,97 (0,66) [-2,27; 0,32]	0,1400
		Agalsidase beta	11	1,18 (1,83)	0,84 (0,53) [-0,21; 1,88]		
	Nicht- klassisch	Pegunigalsidase alfa	23	2,13 (3,44)	0,01 (0,61) [-1,21; 1,23]	0,13 (1,09) [-2,02; 2,28]	0,9063
		Agalsidase beta	11	2,00 (3,35)	-0,12 (0,90) [-1,89; 1,65]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.4.5 Region

Veränderung gegenüber Baseline in 'momentaner Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,0649							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Europa	Pegunigalsidase alfa	19	2,11 (2,75)	-	-	-
		Agalsidase beta	7	0,71 (1,11)			
	USA	Pegunigalsidase alfa	33	1,67 (2,04)			
		Agalsidase beta	18	1,72 (2,59)			
Woche 104	Europa	Pegunigalsidase alfa	17	2,47 (3,20)	0,43 (0,50) [-0,57; 1,44]	1,19 (0,99) [-0,77; 3,16]	0,2299

Veränderung gegenüber Baseline in 'momentaner Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,0649							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	6	0,17 (0,41)	-0,76 (0,84) [-2,45; 0,92]		
	USA	Pegunigalsidase alfa	28	1,61 (2,70)	-0,24 (0,47) [-1,17; 0,68]	-1,12 (0,78) [-2,66; 0,41]	0,1502
		Agalsidase beta	16	2,12 (2,96)	0,88 (0,62) [-0,34; 2,10]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.4.6 Geschlecht

Veränderung gegenüber Baseline in 'momentaner Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,9796							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Männlich	Pegunigalsidase alfa	29	1,55 (2,21)	-	-	-
		Agalsidase beta	18	1,50 (2,26)			
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	23	2,17 (2,42)			
		Agalsidase beta	7	1,29 (2,56)			
Woche 104	Männlich	Pegunigalsidase alfa	23	1,70 (2,20)	-0,12 (0,37) [-0,84; 0,61]	-0,38 (0,58) [-1,53; 0,76]	0,5084
Agalsidase beta		15	1,40 (2,23)	0,27 (0,45) [-0,62; 1,16]			

Veränderung gegenüber Baseline in 'momentaner Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,9796							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	22	2,18 (3,51)	0,11 (0,67) [-1,22; 1,43]	-0,42 (1,36) [-3,12; 2,27]	0,7562
		Agalsidase beta	7	2,00 (3,61)	0,53 (1,18) [-1,82; 2,88]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.4.7 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'momentaner Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,4278							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Ja	Pegunigalsidase alfa	26	1,58 (2,04)	-	-	-
		Agalsidase beta	16	1,44 (2,28)			
	Nein	Pegunigalsidase alfa	26	2,08 (2,56)			
		Agalsidase beta	9	1,44 (2,46)			
Woche 104	Ja	Pegunigalsidase alfa	22	1,86 (3,06)	0,07 (0,61) [-1,14; 1,28]	-0,74 (0,97) [-2,65; 1,17]	0,4425
		Agalsidase beta	15	2,00 (2,93)	0,81 (0,75) [-0,66; 2,29]		
	Nein	Pegunigalsidase alfa	23	2,00 (2,80)	-0,21 (0,36) [-0,93; 0,51]	0,22 (0,74) [-1,24; 1,68]	0,7666

Veränderung gegenüber Baseline in 'momentaner Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,4278							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	7	0,71 (1,89)	-0,43 (0,64) [-1,70; 0,84]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.4.8 UPCR-Kategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'momentaner Schmerz'							
Subgruppe (ITT): UPCR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,2155							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	0,5 < und < 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	9	1,33 (2,40)	-	-	-
		Agalsidase beta	2	1,00 (1,41)			
	≤ 0,5 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	36	1,92 (2,41)			
		Agalsidase beta	20	1,45 (2,46)			
	≥ 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	7	2,00 (1,83)			
		Agalsidase beta	3	1,67 (2,08)			
Woche 104	0,5 < und < 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	7	1,86 (3,34)	0,70 (0,62) [-0,61; 2,00]	1,19 (1,36) [-1,70; 4,07]	0,3963
		Agalsidase beta	2	0,50 (0,71)	-0,49 (1,21) [-3,06; 2,08]		
	≤ 0,5 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	32	2,03 (2,97)	-0,01 (0,45) [-0,90; 0,88]	-0,90 (0,76) [-2,39; 0,60]	0,2401

Veränderung gegenüber Baseline in 'momentaner Schmerz'							
Subgruppe (ITT): UPCR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,2155							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	17	2,00 (2,92)	0,88 (0,61) [-0,32; 2,09]		
	≥ 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	6	1,50 (2,35)	-0,54 (0,80) [-2,21; 1,14]	1,36 (1,40) [-1,58; 4,29]	0,3448
		Agalsidase beta	3	0,00 (0,00)	-1,90 (1,15) [-4,31; 0,52]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.5 Veränderung gegenüber Baseline in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz'

2.1.2.1.5.1 ADA-Status zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,5085							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Negativ	Pegunigalsidase alfa	34	2,21 (1,99)	-	-	-
		Agalsidase beta	17	1,60 (2,12)			
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	18	2,06 (2,14)			
		Agalsidase beta	8	2,41 (1,83)			
Woche 104	Negativ	Pegunigalsidase alfa	30	2,02 (2,79)	-0,07 (0,39) [-0,84; 0,70]	-0,43 (0,66) [-1,74; 0,88]	0,5199
		Agalsidase beta	16	2,09 (2,61)	0,36 (0,54) [-0,70; 1,42]		

Veränderung gegenüber Baseline in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,5085							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	15	2,93 (2,50)	0,55 (0,52) [-0,49; 1,60]	0,34 (0,96) [-1,57; 2,25]	0,7217
		Agalsidase beta	6	2,04 (2,70)	0,21 (0,80) [-1,39; 1,81]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.5.2 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,9454							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	33	2,28 (1,82)	-	-	-
		Agalsidase beta	19	1,66 (1,86)			
	> -5	Pegunigalsidase alfa	19	1,95 (2,37)			
		Agalsidase beta	6	2,50 (2,60)			
Woche 104	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	29	2,47 (2,67)	0,16 (0,40) [-0,62; 0,94]	-0,16 (0,63) [-1,41; 1,09]	0,8045
		Agalsidase beta	19	2,00 (2,48)	0,32 (0,49) [-0,66; 1,29]		
	> -5	Pegunigalsidase alfa	16	2,06 (2,84)	0,06 (0,53) [-1,00; 1,11]	-0,06 (1,26) [-2,58; 2,46]	0,9619

Veränderung gegenüber Baseline in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,9454							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	3	2,58 (3,64)	0,12 (1,15) [-2,17; 2,40]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.5.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,2595							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	28	1,90 (1,87)	-	-	-
		Agalsidase beta	11	1,98 (2,59)			
	≤60	Pegunigalsidase alfa	13	2,27 (1,68)			
		Agalsidase beta	8	2,44 (1,50)			
	>90	Pegunigalsidase alfa	11	2,68 (2,74)			
		Agalsidase beta	6	0,88 (1,23)			
Woche 104	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	27	1,69 (2,14)	-0,17 (0,35) [-0,87; 0,53]	-1,14 (0,70) [-2,53; 0,25]	0,1072
		Agalsidase beta	9	2,94 (3,17)	0,97 (0,61) [-0,23; 2,17]		
	≤60	Pegunigalsidase alfa	10	3,28 (3,44)	0,74 (0,73) [-0,73; 2,22]	0,96 (1,14) [-1,33; 3,24]	

Veränderung gegenüber Baseline in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,2595							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	8	2,25 (2,21)	-0,21 (0,87) [-1,96; 1,53]		
	>90	Pegunigalsidase alfa	8	3,28 (3,15)	0,24 (0,84) [-1,46; 1,95]	0,18 (1,39) [-2,61; 2,98]	0,8956
		Agalsidase beta	5	0,25 (0,25)	0,06 (1,10) [-2,15; 2,27]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.5.4 Klassifizierung des Morbus Fabry

Veränderung gegenüber Baseline in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,8894							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	27	1,95 (2,03)	-	-	-
		Agalsidase beta	14	1,77 (1,51)			
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	25	2,38 (2,03)			
		Agalsidase beta	11	1,98 (2,63)			
Woche 104	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	22	2,27 (2,47)	0,21 (0,35) [-0,48; 0,91]	-0,22 (0,60) [-1,42; 0,97]	0,7126
		Agalsidase beta	11	2,05 (2,01)	0,44 (0,49) [-0,54; 1,41]		

Veränderung gegenüber Baseline in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,8894							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	Nicht- klassisch	Pegunigalsidase alfa	23	2,38 (2,97)	0,04 (0,53) [-1,01; 1,08]	-0,07 (0,94) [-1,92; 1,78]	0,9420
		Agalsidase beta	11	2,11 (3,14)	0,11 (0,77) [-1,42; 1,63]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.5.5 Region

Veränderung gegenüber Baseline in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,2461							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Europa	Pegunigalsidase alfa	19	2,39 (2,23)	-	-	-
		Agalsidase beta	7	0,82 (0,84)			
	USA	Pegunigalsidase alfa	33	2,02 (1,92)			
		Agalsidase beta	18	2,26 (2,23)			
Woche 104	Europa	Pegunigalsidase alfa	17	2,69 (3,04)	0,34 (0,49) [-0,63; 1,31]	0,60 (0,95) [-1,28; 2,49]	0,5249
		Agalsidase beta	6	0,54 (0,75)	-0,26 (0,81) [-1,88; 1,35]		
	USA	Pegunigalsidase alfa	28	2,11 (2,51)	-0,03 (0,40) [-0,83; 0,76]	-0,74 (0,67) [-2,05; 0,58]	0,2696

Veränderung gegenüber Baseline in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,2461							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	16	2,66 (2,78)	0,70 (0,53) [-0,34; 1,75]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.5.6 Geschlecht

Veränderung gegenüber Baseline in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,5290							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Männlich	Pegunigalsidase alfa	29	1,92 (1,96)	-	-	-
		Agalsidase beta	18	2,11 (1,90)			
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	23	2,46 (2,10)			
		Agalsidase beta	7	1,21 (2,38)			
Woche 104	Männlich	Pegunigalsidase alfa	23	2,24 (2,42)	0,21 (0,34) [-0,46; 0,88]	0,14 (0,54) [-0,92; 1,20]	0,7929
		Agalsidase beta	15	2,08 (2,22)	0,07 (0,42) [-0,75; 0,89]		
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	22	2,42 (3,03)	0,03 (0,58) [-1,11; 1,18]	-0,67 (1,18) [-3,01; 1,66]	0,5689
		Agalsidase beta	7	2,07 (3,40)	0,71 (1,02) [-1,33; 2,74]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							

Veränderung gegenüber Baseline in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,5290							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.5.7 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,6019							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Ja	Pegunigalsidase alfa	26	2,02 (1,95)	-	-	-
		Agalsidase beta	16	2,12 (1,97)			
	Nein	Pegunigalsidase alfa	26	2,30 (2,13)			
		Agalsidase beta	9	1,39 (2,18)			
Woche 104	Ja	Pegunigalsidase alfa	22	2,26 (2,79)	0,25 (0,50) [-0,73; 1,23]	-0,31 (0,78) [-1,86; 1,24]	0,6939
		Agalsidase beta	15	2,57 (2,61)	0,56 (0,61) [-0,64; 1,76]		
	Nein	Pegunigalsidase alfa	23	2,39 (2,68)	0,05 (0,37) [-0,68; 0,77]	0,26 (0,75) [-1,23; 1,74]	0,7329
		Agalsidase beta	7	1,04 (2,31)	-0,21 (0,65) [-1,50; 1,09]		
Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.5.8 UPCR-Kategorie zu Baseline

Veränderung von Baseline in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz'							
Subgruppe (ITT): UPCR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,3227							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	0,5 < und < 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	9	1,78 (2,08)	-	-	-
		Agalsidase beta	2	1,25 (1,77)			
	≤ 0,5 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	36	2,22 (2,10)			
		Agalsidase beta	20	1,82 (2,18)			
	≥ 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	7	2,36 (1,71)			
		Agalsidase beta	3	2,50 (1,39)			
Woche 104	0,5 < und < 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	7	2,04 (2,96)	0,64 (0,56) [-0,54; 1,82]	1,12 (1,24) [-1,50; 3,74]	0,3786
		Agalsidase beta	2	0,75 (1,06)	-0,48 (1,10) [-2,82; 1,86]		
	≤ 0,5 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	32	2,47 (2,78)	0,17 (0,39) [-0,61; 0,94]	-0,64 (0,66) [-1,94; 0,67]	0,3360
		Agalsidase beta	17	2,44 (2,82)	0,81 (0,53) [-0,24; 1,86]		
	≥ 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	6	1,92 (2,33)	-0,55 (0,82) [-2,27; 1,17]	1,04 (1,44) [-1,97; 4,06]	0,4773
		Agalsidase beta	3	0,92 (0,52)	-1,59 (1,18) [-4,07; 0,88]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.6 Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz'

2.1.2.1.6.1 ADA-Status zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,3780							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Negativ	Pegunigalsidase alfa	34	2,68 (2,98)	-	-	-
		Agalsidase beta	17	1,59 (2,50)			
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	18	2,06 (2,98)			
		Agalsidase beta	8	1,88 (1,96)			
Woche 104	Negativ	Pegunigalsidase alfa	30	2,13 (3,10)	-0,23 (0,47) [-1,16; 0,70]	-0,35 (0,80) [-1,94; 1,23]	0,6622
		Agalsidase beta	16	2,12 (2,73)	0,12 (0,65) [-1,16; 1,40]		
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	15	3,73 (3,71)	1,27 (0,60) [0,08; 2,45]	0,83 (1,08) [-1,32; 2,98]	0,4418
		Agalsidase beta	6	1,83 (3,06)	0,43 (0,90) [-1,36; 2,22]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.6.2 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,6006							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	33	2,73 (3,05)	-	-	-

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,6006							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	> -5	Agalsidase beta	19	1,47 (1,93)			
		Pegunigalsidase alfa	19	2,00 (2,83)			
		Agalsidase beta	6	2,33 (3,39)			
Woche 104	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	29	3,07 (3,51)	0,60 (0,53) [-0,45; 1,65]	0,46 (0,86) [-1,25; 2,16]	0,5977
		Agalsidase beta	19	2,00 (2,77)	0,15 (0,67) [-1,18; 1,47]		
	> -5	Pegunigalsidase alfa	16	1,94 (3,04)	-0,19 (0,47) [-1,13; 0,75]	-0,26 (1,07) [-2,40; 1,87]	0,8064
		Agalsidase beta	3	2,33 (3,21)	0,07 (0,96) [-1,84; 1,99]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.6.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,4055							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	28	2,57 (3,08)	-	-	-
		Agalsidase beta	11	2,09 (3,14)			
	≤60	Pegunigalsidase alfa	13	2,31 (2,81)			

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,4055							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	>90	Agalsidase beta	8	2,00 (1,41)			
		Pegunigalsidase alfa	11	2,36 (3,11)			
		Agalsidase beta	6	0,50 (0,84)			
Woche 104	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	27	2,22 (3,25)	-0,34 (0,53) [-1,40; 0,72]	-1,07 (1,04) [-3,12; 0,99]	0,3062
		Agalsidase beta	9	2,89 (2,93)	0,73 (0,89) [-1,03; 2,49]		
	≤60	Pegunigalsidase alfa	10	3,40 (3,60)	1,35 (0,77) [-0,20; 2,89]	1,03 (1,18) [-1,34; 3,39]	0,3884
		Agalsidase beta	8	2,38 (2,97)	0,32 (0,89) [-1,46; 2,10]		
	>90	Pegunigalsidase alfa	8	3,25 (3,65)	0,51 (0,99) [-1,48; 2,50]	-0,48 (1,67) [-3,84; 2,88]	0,7742
		Agalsidase beta	5	0,00 (0,00)	0,99 (1,32) [-1,67; 3,66]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.6.4 Klassifizierung des Morbus Fabry

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,8668							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	27	2,11 (2,91)	-	-	-
		Agalsidase beta	14	1,57 (1,70)			
	Nicht- klassisch	Pegunigalsidase alfa	25	2,84 (3,04)			
		Agalsidase beta	11	1,82 (2,99)			
Woche 104	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	22	2,86 (3,45)	0,73 (0,47) [-0,19; 1,65]	-0,11 (0,79) [-1,68; 1,46]	0,8916
		Agalsidase beta	11	2,27 (2,61)	0,84 (0,64) [-0,43; 2,10]		
	Nicht- klassisch	Pegunigalsidase alfa	23	2,48 (3,34)	-0,23 (0,60) [-1,42; 0,96]	0,11 (1,06) [-1,99; 2,22]	0,9146
		Agalsidase beta	11	1,82 (2,99)	-0,35 (0,88) [-2,08; 1,39]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.6.5 Region

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,6399							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Europa	Pegunigalsidase alfa	19	2,11 (2,98)	-	-	-
		Agalsidase beta	7	0,29 (0,76)			

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz'								
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,6399								
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert	
Woche 104	USA	Pegunigalsidase alfa	33	2,67 (2,99)			0,9411	
		Agalsidase beta	18	2,22 (2,49)				
	Europa	Pegunigalsidase alfa	17	2,94 (3,60)	0,69 (0,76) [-0,83; 2,21]	0,11 (1,48) [-2,84; 3,06]		0,3930
		Agalsidase beta	6	0,83 (2,04)	0,58 (1,26) [-1,94; 3,10]			
	USA	Pegunigalsidase alfa	28	2,50 (3,27)	-0,25 (0,47) [-1,19; 0,68]	-0,67 (0,79) [-2,23; 0,88]		
		Agalsidase beta	16	2,50 (2,90)	0,42 (0,63) [-0,82; 1,66]			

Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline

ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures

2.1.2.1.6.6 Geschlecht

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,8113							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Männlich	Pegunigalsidase alfa	29	2,14 (2,84)	-	-	-
		Agalsidase beta	18	1,83 (2,23)			
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	23	2,87 (3,14)			
		Agalsidase beta	7	1,29 (2,63)			

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,8113							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Woche 104	Männlich	Pegunigalsidase alfa	23	2,78 (3,40)	0,66 (0,43) [-0,19; 1,51]	0,22 (0,68) [-1,12; 1,57]	0,7431
		Agalsidase beta	15	2,13 (2,59)	0,43 (0,53) [-0,61; 1,48]		
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	22	2,55 (3,40)	-0,22 (0,67) [-1,55; 1,12]	-0,14 (1,38) [-2,88; 2,59]	
		Agalsidase beta	7	1,86 (3,29)	-0,08 (1,20) [-2,45; 2,30]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.6.7 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,8581							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Ja	Pegunigalsidase alfa	26	2,35 (2,87)	-	-	-
		Agalsidase beta	16	2,00 (2,31)			
	Nein	Pegunigalsidase alfa	26	2,58 (3,11)			
		Agalsidase beta	9	1,11 (2,32)			
Woche 104	Ja	Pegunigalsidase alfa	22	2,82 (3,43)	0,53 (0,58) [-0,62; 1,69]	-0,06 (0,92) [-1,88; 1,76]	0,9481

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,8581							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	15	2,47 (2,61)	0,59 (0,71) [-0,81; 2,00]		
	Nein	Pegunigalsidase alfa	23	2,52 (3,37)	-0,08 (0,51) [-1,09; 0,93]	0,19 (1,02) [-1,84; 2,21]	0,8562
		Agalsidase beta	7	1,14 (3,02)	-0,26 (0,88) [-2,00; 1,48]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.7 Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz'

2.1.2.1.7.1 ADA-Status zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,7589							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Negativ	Pegunigalsidase alfa	34	2,44 (2,96)	-	-	-
		Agalsidase beta	17	1,76 (2,75)			
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	18	2,17 (3,01)			
		Agalsidase beta	8	2,62 (2,62)			
Woche 104	Negativ	Pegunigalsidase alfa	30	1,93 (2,88)	-0,39 (0,47) [-1,31; 0,54]	-0,32 (0,80) [-1,90; 1,26]	0,6906
		Agalsidase beta	16	2,00 (2,88)	-0,07 (0,65) [-1,35; 1,21]		

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,7589							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	15	2,93 (3,61)	0,32 (0,74) [-1,15; 1,79]	0,16 (1,34) [-2,50; 2,82]	0,9057
		Agalsidase beta	6	1,83 (3,06)	0,16 (1,11) [-2,06; 2,38]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.7.2 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,8602							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	33	2,61 (3,13)	-	-	-
		Agalsidase beta	19	1,79 (2,49)			
	> -5	Pegunigalsidase alfa	19	1,89 (2,62)			
		Agalsidase beta	6	2,83 (3,37)			
Woche 104	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	29	2,48 (3,21)	-0,17 (0,52) [-1,20; 0,85]	-0,11 (0,84) [-1,76; 1,55]	0,8978
		Agalsidase beta	19	2,00 (3,00)	-0,07 (0,65) [-1,36; 1,23]		
	> -5	Pegunigalsidase alfa	16	1,88 (3,05)	0,11 (0,62) [-1,13; 1,35]	-0,38 (1,32) [-3,03; 2,26]	

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,8602							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	3	1,67 (2,08)	0,49 (1,17) [-1,84; 2,82]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.7.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,3810							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	28	2,61 (3,08)	-	-	-
		Agalsidase beta	11	2,18 (3,31)			
	≤60	Pegunigalsidase alfa	13	1,31 (2,21)			
		Agalsidase beta	8	2,38 (2,33)			
	>90	Pegunigalsidase alfa	11	2,91 (3,30)			
		Agalsidase beta	6	1,33 (2,07)			
Woche 104	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	27	2,00 (3,00)	-0,55 (0,53) [-1,60; 0,51]	-1,10 (1,02) [-3,12; 0,93]	0,2854
		Agalsidase beta	9	2,67 (3,00)	0,55 (0,87) [-1,18; 2,28]		
	≤60	Pegunigalsidase alfa	10	2,70 (3,27)	1,01 (0,82) [-0,63; 2,65]	0,95 (1,25) [-1,55; 3,45]	0,4491

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,3810							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	8	2,38 (3,25)	0,06 (0,94) [-1,82; 1,94]		
	>90	Pegunigalsidase alfa	8	2,62 (3,74)	-0,81 (1,12) [-3,06; 1,45]	-1,40 (1,83) [-5,10; 2,30]	0,4503
		Agalsidase beta	5	0,00 (0,00)	0,59 (1,45) [-2,33; 3,51]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.7.4 Klassifizierung des Morbus Fabry

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,2598							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	27	1,85 (2,67)	-	-	-
		Agalsidase beta	14	1,71 (1,82)			
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	25	2,88 (3,19)			
		Agalsidase beta	11	2,45 (3,56)			
Woche 104	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	22	2,18 (3,23)	-0,01 (0,52) [-1,03; 1,01]	-1,09 (0,88) [-2,83; 0,66]	0,2198
		Agalsidase beta	11	2,18 (2,82)	1,08 (0,71) [-0,34; 2,49]		

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,2598							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	Nicht- klassisch	Pegunigalsidase alfa	23	2,35 (3,11)	-0,34 (0,61) [-1,56; 0,88]	0,49 (1,09) [-1,67; 2,65]	0,6522
		Agalsidase beta	11	1,73 (3,00)	-0,83 (0,90) [-2,61; 0,95]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.7.5 Region

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,7874							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Europa	Pegunigalsidase alfa	19	1,89 (2,73)	-	-	-
		Agalsidase beta	7	0,57 (1,51)			
	USA	Pegunigalsidase alfa	33	2,61 (3,08)			
		Agalsidase beta	18	2,61 (2,85)			
Woche 104	Europa	Pegunigalsidase alfa	17	2,18 (3,28)	0,29 (0,63) [-0,97; 1,54]	0,01 (1,24) [-2,47; 2,49]	0,9940
		Agalsidase beta	6	1,17 (2,86)	0,28 (1,06) [-1,84; 2,40]		
	USA	Pegunigalsidase alfa	28	2,32 (3,10)	-0,38 (0,51) [-1,39; 0,62]	-0,40 (0,85) [-2,07; 1,28]	

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,7874							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	16	2,25 (2,89)	0,01 (0,68) [-1,32; 1,35]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.7.6 Geschlecht

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,8887							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Männlich	Pegunigalsidase alfa	29	1,83 (2,58)	-	-	-
		Agalsidase beta	18	2,17 (2,57)			
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	23	3,00 (3,30)			
		Agalsidase beta	7	1,71 (3,15)			
Woche 104	Männlich	Pegunigalsidase alfa	23	2,13 (3,17)	0,03 (0,50) [-0,96; 1,02]	-0,13 (0,80) [-1,70; 1,45]	0,8716
		Agalsidase beta	15	1,93 (2,58)	0,16 (0,62) [-1,06; 1,38]		
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	22	2,41 (3,17)	-0,47 (0,66) [-1,79; 0,85]	-0,35 (1,36) [-3,04; 2,35]	0,7974
		Agalsidase beta	7	2,00 (3,61)	-0,12 (1,18) [-2,46; 2,22]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,8887							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.7.7 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,6768							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Ja	Pegunigalsidase alfa	26	2,00 (2,83)	-	-	-
		Agalsidase beta	16	2,19 (2,64)			
	Nein	Pegunigalsidase alfa	26	2,69 (3,08)			
		Agalsidase beta	9	1,78 (2,91)			
Woche 104	Ja	Pegunigalsidase alfa	22	2,18 (3,06)	-0,09 (0,58) [-1,25; 1,06]	-0,43 (0,92) [-2,25; 1,39]	0,6380
		Agalsidase beta	15	2,27 (2,63)	0,34 (0,71) [-1,07; 1,75]		
	Nein	Pegunigalsidase alfa	23	2,35 (3,27)	-0,25 (0,55) [-1,33; 0,83]	0,16 (1,08) [-1,99; 2,30]	0,8841
		Agalsidase beta	7	1,29 (3,40)	-0,41 (0,93) [-2,26; 1,44]		
Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.8 Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz'

2.1.2.1.8.1 ADA-Status zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,8208							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Negativ	Pegunigalsidase alfa	34	1,97 (3,03)	-	-	-
		Agalsidase beta	17	1,47 (2,43)			
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	18	2,22 (3,23)			
		Agalsidase beta	8	2,88 (3,44)			
Woche 104	Negativ	Pegunigalsidase alfa	30	1,77 (2,97)	0,16 (0,47) [-0,77; 1,09]	-0,02 (0,80) [-1,61; 1,57]	0,9809
		Agalsidase beta	16	1,81 (2,59)	0,18 (0,65) [-1,11; 1,47]		
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	15	3,07 (3,61)	0,28 (0,54) [-0,80; 1,35]	0,27 (0,98) [-1,69; 2,22]	0,7853
		Agalsidase beta	6	2,33 (3,61)	0,01 (0,82) [-1,62; 1,64]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.8.2 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,1928							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	33	2,21 (2,97)	-	-	-

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,1928							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	> -5	Agalsidase beta	19	1,53 (2,22)			
		Pegunigalsidase alfa	19	1,79 (3,31)			
		Agalsidase beta	6	3,17 (4,17)			
Woche 104	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	29	2,62 (3,45)	0,64 (0,49) [-0,32; 1,60]	0,38 (0,78) [-1,17; 1,92]	0,6320
		Agalsidase beta	19	1,89 (2,73)	0,26 (0,61) [-0,95; 1,47]		
	> -5	Pegunigalsidase alfa	16	1,44 (2,68)	-0,61 (0,45) [-1,52; 0,29]	-1,29 (1,01) [-3,32; 0,73]	0,2067
		Agalsidase beta	3	2,33 (4,04)	0,68 (0,91) [-1,13; 2,49]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.8.3 Klassifizierung des Morbus Fabry

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,5789							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	27	2,15 (3,29)	-	-	-
		Agalsidase beta	14	2,21 (2,86)			
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	25	1,96 (2,88)			

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,5789							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	11	1,55 (2,81)			
Woche 104	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	22	2,27 (3,28)	0,07 (0,38) [-0,69; 0,83]	-0,40 (0,66) [-1,69; 0,90]	0,5461
		Agalsidase beta	11	2,18 (2,75)	0,46 (0,53) [-0,59; 1,51]		
	Nicht- klassisch	Pegunigalsidase alfa	23	2,13 (3,22)	0,36 (0,60) [-0,82; 1,54]	0,29 (1,06) [-1,80; 2,39]	0,7817
		Agalsidase beta	11	1,73 (3,00)	0,07 (0,87) [-1,66; 1,79]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.8.4 Region

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,4639							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Europa	Pegunigalsidase alfa	19	2,16 (3,20)	-	-	-
		Agalsidase beta	7	0,43 (0,79)			
	USA	Pegunigalsidase alfa	33	2,00 (3,04)			
		Agalsidase beta	18	2,50 (3,09)			
Woche 104	Europa	Pegunigalsidase alfa	17	2,24 (3,31)	0,40 (0,55) [-0,70; 1,49]	0,54 (1,07) [-1,60; 2,68]	0,6160

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,4639							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	6	0,50 (1,22)	-0,14 (0,91) [-1,96; 1,68]		
	USA	Pegunigalsidase alfa	28	2,18 (3,22)	0,03 (0,47) [-0,91; 0,96]	-0,43 (0,79) [-1,98; 1,12]	0,5818
		Agalsidase beta	16	2,50 (3,08)	0,46 (0,63) [-0,78; 1,70]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.8.5 Geschlecht

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,5422							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Männlich	Pegunigalsidase alfa	29	2,38 (3,50)	-	-	-
		Agalsidase beta	18	2,22 (2,98)			
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	23	1,65 (2,44)			
		Agalsidase beta	7	1,14 (2,27)			
Woche 104	Männlich	Pegunigalsidase alfa	23	2,22 (3,22)	-0,06 (0,39) [-0,83; 0,72]	-0,31 (0,63) [-1,54; 0,93]	0,6232
Agalsidase beta		15	2,27 (2,79)	0,25 (0,49) [-0,71; 1,21]			

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,5422							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	22	2,18 (3,29)	0,55 (0,66) [-0,75; 1,86]	0,59 (1,34) [-2,07; 3,26]	0,6590
		Agalsidase beta	7	1,29 (2,98)	-0,04 (1,17) [-2,36; 2,28]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.8.6 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,7053							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Ja	Pegunigalsidase alfa	26	1,77 (2,79)	-	-	-
		Agalsidase beta	16	2,44 (3,10)			
	Nein	Pegunigalsidase alfa	26	2,35 (3,36)			
		Agalsidase beta	9	1,00 (2,00)			
Woche 104	Ja	Pegunigalsidase alfa	22	2,18 (2,97)	0,50 (0,55) [-0,58; 1,59]	0,17 (0,87) [-1,54; 1,89]	0,8418
		Agalsidase beta	15	2,33 (2,74)	0,33 (0,67) [-1,00; 1,66]		
	Nein	Pegunigalsidase alfa	23	2,22 (3,50)	-0,17 (0,50) [-1,16; 0,82]	-0,33 (1,00) [-2,30; 1,65]	0,7441

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,7053							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	7	1,14 (3,02)	0,16 (0,86) [-1,54; 1,86]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.9 Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz'

2.1.2.1.9.1 ADA-Status zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,1063							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Negativ	Pegunigalsidase alfa	34	2,68 (3,35)	-	-	-
		Agalsidase beta	17	1,82 (2,60)			
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	18	2,28 (3,30)			
		Agalsidase beta	8	3,62 (3,50)			
Woche 104	Negativ	Pegunigalsidase alfa	30	2,10 (3,25)	-0,16 (0,50) [-1,15; 0,82]	-1,02 (0,85) [-2,70; 0,66]	0,2340
		Agalsidase beta	16	3,00 (3,12)	0,86 (0,69) [-0,50; 2,21]		
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	15	3,53 (3,74)	0,82 (0,57) [-0,31; 1,95]	1,13 (1,02) [-0,91; 3,17]	0,2719
		Agalsidase beta	6	2,67 (4,08)	-0,31 (0,85) [-2,01; 1,38]		

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,1063							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.9.2 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,9929							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	33	2,61 (3,21)	-	-	-
		Agalsidase beta	19	2,11 (2,60)			
	> -5	Pegunigalsidase alfa	19	2,42 (3,55)			
		Agalsidase beta	6	3,33 (4,08)			
Woche 104	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	29	2,97 (3,61)	0,54 (0,53) [-0,50; 1,58]	-0,27 (0,84) [-1,94; 1,39]	0,7465
		Agalsidase beta	19	3,00 (3,30)	0,81 (0,66) [-0,49; 2,12]		
	> -5	Pegunigalsidase alfa	16	1,88 (3,12)	-0,83 (0,55) [-1,93; 0,27]	-0,26 (1,18) [-2,61; 2,09]	0,8256
		Agalsidase beta	3	2,33 (4,04)	-0,57 (1,04) [-2,65; 1,51]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.9.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,5332							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	28	2,29 (3,17)	-	-	-
		Agalsidase beta	11	3,00 (3,61)			
	≤60	Pegunigalsidase alfa	13	2,38 (2,96)			
		Agalsidase beta	8	3,00 (2,67)			
	>90	Pegunigalsidase alfa	11	3,36 (4,13)			
		Agalsidase beta	6	0,50 (0,84)			
Woche 104	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	27	2,07 (3,23)	-0,35 (0,51) [-1,37; 0,67]	-1,06 (1,00) [-3,04; 0,93]	0,2942
		Agalsidase beta	9	3,22 (3,35)	0,71 (0,86) [-1,00; 2,41]		
	≤60	Pegunigalsidase alfa	10	3,80 (3,65)	1,76 (0,74) [0,28; 3,23]	0,39 (1,11) [-1,84; 2,61]	0,7294
		Agalsidase beta	8	4,38 (3,38)	1,37 (0,83) [-0,29; 3,04]		
	>90	Pegunigalsidase alfa	8	2,75 (3,96)	-0,82 (0,78) [-2,40; 0,75]	-1,28 (1,33) [-3,96; 1,40]	0,3411
		Agalsidase beta	5	0,00 (0,00)	0,45 (1,06) [-1,68; 2,59]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.9.4 Klassifizierung des Morbus Fabry

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,6211							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	27	2,11 (3,17)	-	-	-
		Agalsidase beta	14	2,64 (2,82)			
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	25	3,00 (3,45)			
		Agalsidase beta	11	2,09 (3,27)			
Woche 104	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	22	2,64 (3,59)	0,50 (0,42) [-0,33; 1,33]	-0,82 (0,71) [-2,23; 0,60]	0,2554
		Agalsidase beta	11	3,55 (3,45)	1,32 (0,58) [0,17; 2,46]		
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	23	2,52 (3,38)	-0,30 (0,61) [-1,50; 0,91]	-0,18 (1,07) [-2,31; 1,95]	0,8684
		Agalsidase beta	11	2,27 (3,20)	-0,12 (0,88) [-1,87; 1,64]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.9.5 Region

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,3574							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Europa	Pegunigalsidase alfa	19	2,26 (3,11)	-	-	-
		Agalsidase beta	7	0,43 (0,79)			

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,3574							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Woche 104	USA	Pegunigalsidase alfa	33	2,70 (3,45)			
		Agalsidase beta	18	3,17 (3,17)			
	Europa	Pegunigalsidase alfa	17	2,65 (3,52)	0,70 (0,61) [-0,51; 1,91]	0,16 (1,18) [-2,19; 2,51]	0,8937
		Agalsidase beta	6	1,00 (1,55)	0,54 (1,00) [-1,46; 2,54]		
	USA	Pegunigalsidase alfa	28	2,54 (3,47)	-0,35 (0,51) [-1,35; 0,65]	-1,17 (0,84) [-2,83; 0,48]	0,1641
		Agalsidase beta	16	3,62 (3,54)	0,83 (0,67) [-0,49; 2,15]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.9.6 Geschlecht

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,9463							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Männlich	Pegunigalsidase alfa	29	2,34 (3,39)	-	-	-
		Agalsidase beta	18	2,78 (2,98)			
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	23	2,78 (3,25)			
		Agalsidase beta	7	1,43 (2,94)			

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,9463							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Woche 104	Männlich	Pegunigalsidase alfa	23	2,65 (3,51)	0,42 (0,44) [-0,46; 1,29]	-0,37 (0,70) [-1,76; 1,02]	0,6002
		Agalsidase beta	15	3,33 (3,27)	0,79 (0,55) [-0,29; 1,86]		
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	22	2,50 (3,46)	-0,20 (0,66) [-1,51; 1,11]	-0,27 (1,35) [-2,95; 2,42]	
		Agalsidase beta	7	2,00 (3,46)	0,07 (1,18) [-2,27; 2,40]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.9.7 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,8002							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Ja	Pegunigalsidase alfa	26	2,23 (3,00)	-	-	-
		Agalsidase beta	16	3,00 (3,08)			
	Nein	Pegunigalsidase alfa	26	2,85 (3,62)			
		Agalsidase beta	9	1,33 (2,60)			
Woche 104	Ja	Pegunigalsidase alfa	22	2,68 (3,48)	0,51 (0,58) [-0,64; 1,66]	-0,55 (0,92) [-2,36; 1,27]	0,5537

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,8002							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	15	3,73 (3,20)	1,06 (0,71) [-0,35; 2,46]		
	Nein	Pegunigalsidase alfa	23	2,48 (3,49)	-0,41 (0,52) [-1,44; 0,62]	-0,20 (1,03) [-2,25; 1,86]	0,8506
		Agalsidase beta	7	1,14 (3,02)	-0,22 (0,89) [-1,98; 1,54]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.10 Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz'

2.1.2.1.10.1 ADA-Status zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,7005							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Negativ	Pegunigalsidase alfa	34	1,94 (2,86)	-	-	-
		Agalsidase beta	17	1,18 (2,35)			
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	18	1,39 (2,64)			
		Agalsidase beta	8	2,38 (3,46)			
Woche 104	Negativ	Pegunigalsidase alfa	30	1,63 (2,66)	0,02 (0,41) [-0,80; 0,84]	0,05 (0,71) [-1,34; 1,45]	0,9398
		Agalsidase beta	16	1,50 (2,22)	-0,03 (0,57) [-1,16; 1,09]		

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,7005							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	15	2,27 (3,17)	0,55 (0,61) [-0,66; 1,76]	0,56 (1,10) [-1,64; 2,76]	0,6151
		Agalsidase beta	6	1,50 (2,74)	-0,01 (0,92) [-1,84; 1,83]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.10.2 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,5267							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	33	1,82 (2,81)	-	-	-
		Agalsidase beta	19	1,21 (2,18)			
	> -5	Pegunigalsidase alfa	19	1,63 (2,77)			
		Agalsidase beta	6	2,67 (4,13)			
Woche 104	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	29	2,03 (2,86)	0,38 (0,44) [-0,50; 1,26]	0,25 (0,72) [-1,16; 1,67]	0,7230
		Agalsidase beta	19	1,53 (2,37)	0,13 (0,56) [-0,98; 1,23]		
	> -5	Pegunigalsidase alfa	16	1,50 (2,80)	-0,66 (0,61) [-1,87; 0,55]	-0,68 (1,29) [-3,26; 1,90]	

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,5267							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	3	1,33 (2,31)	0,02 (1,14) [-2,26; 2,30]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.10.3 Klassifizierung des Morbus Fabry

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,2725							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	27	1,07 (2,22)	-	-	-
		Agalsidase beta	14	1,29 (2,30)			
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	25	2,48 (3,15)			
		Agalsidase beta	11	1,91 (3,30)			
Woche 104	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	22	1,68 (2,80)	0,58 (0,41) [-0,22; 1,38]	-0,47 (0,70) [-1,84; 0,91]	0,5014
		Agalsidase beta	11	1,91 (2,34)	1,05 (0,56) [-0,07; 2,17]		
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	23	2,00 (2,89)	-0,27 (0,49) [-1,25; 0,70]	0,75 (0,87) [-0,97; 2,46]	0,3885
		Agalsidase beta	11	1,09 (2,30)	-1,02 (0,71) [-2,44; 0,39]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,2725							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.10.4 Region

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,5618							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Europa	Pegunigalsidase alfa	19	1,58 (2,69)	-	-	-
		Agalsidase beta	7	0,43 (1,13)			
	USA	Pegunigalsidase alfa	33	1,85 (2,85)			
		Agalsidase beta	18	2,00 (3,07)			
Woche 104	Europa	Pegunigalsidase alfa	17	1,76 (3,29)	0,32 (0,57) [-0,82; 1,47]	0,34 (1,12) [-1,88; 2,57]	0,7582
		Agalsidase beta	6	0,50 (1,22)	-0,02 (0,95) [-1,93; 1,88]		
	USA	Pegunigalsidase alfa	28	1,89 (2,56)	-0,11 (0,40) [-0,89; 0,68]	-0,41 (0,66) [-1,71; 0,89]	0,5373
		Agalsidase beta	16	1,88 (2,53)	0,30 (0,52) [-0,74; 1,34]		
Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.10.5 Geschlecht

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,8127							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Männlich	Pegunigalsidase alfa	29	1,10 (2,14)	-	-	-
		Agalsidase beta	18	1,83 (2,92)			
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	23	2,57 (3,27)			
		Agalsidase beta	7	0,86 (2,27)			
Woche 104	Männlich	Pegunigalsidase alfa	23	1,74 (2,75)	0,65 (0,43) [-0,20; 1,50]	0,36 (0,69) [-0,99; 1,72]	0,5975
		Agalsidase beta	15	1,73 (2,19)	0,28 (0,53) [-0,77; 1,34]		
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	22	1,95 (2,95)	-0,19 (0,57) [-1,33; 0,95]	0,69 (1,18) [-1,66; 3,03]	0,5619
		Agalsidase beta	7	1,00 (2,65)	-0,88 (1,02) [-2,91; 1,15]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.10.6 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,5066							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Ja	Pegunigalsidase alfa	26	1,23 (2,42)	-	-	-
		Agalsidase beta	16	2,06 (3,02)			

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz'								
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,5066								
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert	
Woche 104	Nein	Pegunigalsidase alfa	26	2,27 (3,04)			0,8757	
		Agalsidase beta	9	0,67 (2,00)				
	Ja	Pegunigalsidase alfa	22	1,68 (2,48)	0,27 (0,48) [-0,67; 1,22]	0,12 (0,75) [-1,37; 1,60]		0,4560
		Agalsidase beta	15	1,73 (2,19)	0,16 (0,58) [-0,99; 1,30]			
	Nein	Pegunigalsidase alfa	23	2,00 (3,16)	-0,32 (0,42) [-1,15; 0,52]	-0,63 (0,85) [-2,32; 1,05]		
		Agalsidase beta	7	1,00 (2,65)	0,32 (0,73) [-1,13; 1,76]			
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>								
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures								

2.1.2.1.11 Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz'

2.1.2.1.11.1 ADA-Status zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,5370							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Negativ	Pegunigalsidase alfa	34	2,71 (3,24)	-	-	-
		Agalsidase beta	17	1,24 (2,77)			
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	18	1,83 (3,03)			

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,5370							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	8	2,00 (2,20)			
Woche 104	Negativ	Pegunigalsidase alfa	30	2,40 (3,36)	0,11 (0,50) [-0,88; 1,10]	0,16 (0,85) [-1,52; 1,85]	0,8476
		Agalsidase beta	16	1,62 (3,24)	-0,05 (0,69) [-1,41; 1,31]		
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	15	3,67 (3,72)	1,45 (0,63) [0,20; 2,70]	1,04 (1,13) [-1,22; 3,30]	
		Agalsidase beta	6	0,83 (1,17)	0,41 (0,94) [-1,47; 2,28]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.11.2 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,7928							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	33	2,55 (3,06)	-	-	-
		Agalsidase beta	19	1,16 (2,50)			
	> -5	Pegunigalsidase alfa	19	2,16 (3,42)			
		Agalsidase beta	6	2,50 (2,81)			
Woche 104	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	29	3,31 (3,75)	1,06 (0,52) [0,03; 2,09]	1,06 (0,84) [-0,60; 2,72]	0,2102

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,7928							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	19	1,58 (3,01)	0,00 (0,65) [-1,29; 1,29]		
	> -5	Pegunigalsidase alfa	16	1,94 (2,86)	-0,18 (0,56) [-1,30; 0,94]	1,46 (1,29) [-1,11; 4,04]	0,2602
		Agalsidase beta	3	0,33 (0,58)	-1,64 (1,16) [-3,96; 0,67]		
<p><i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i></p>							
<p>ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures</p>							

2.1.2.1.11.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,2468							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	28	2,43 (3,23)	-	-	-
		Agalsidase beta	11	2,27 (3,47)			
	≤60	Pegunigalsidase alfa	13	2,15 (2,58)			
		Agalsidase beta	8	0,62 (1,19)			
	>90	Pegunigalsidase alfa	11	2,64 (3,88)			
		Agalsidase beta	6	1,17 (1,83)			
Woche 104	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	27	2,41 (3,32)	0,13 (0,54) [-0,93; 1,19]	-0,26 (1,06) [-2,35; 1,83]	0,8052

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,2468							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	9	2,56 (4,07)	0,39 (0,91) [-1,41; 2,20]		
	≤60	Pegunigalsidase alfa	10	3,90 (3,38)	1,87 (0,58) [0,70; 3,03]	1,82 (0,91) [-0,01; 3,64]	0,0511
		Agalsidase beta	8	1,00 (1,31)	0,05 (0,67) [-1,30; 1,40]		
	>90	Pegunigalsidase alfa	8	2,88 (4,32)	-0,38 (1,16) [-2,72; 1,96]	-0,61 (1,90) [-4,45; 3,23]	0,7512
		Agalsidase beta	5	0,00 (0,00)	0,23 (1,51) [-2,81; 3,27]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.11.4 Klassifizierung des Morbus Fabry

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,4854							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	27	1,89 (2,93)	-	-	-
		Agalsidase beta	14	1,29 (1,90)			
	Nicht- klassisch	Pegunigalsidase alfa	25	2,96 (3,38)			
		Agalsidase beta	11	1,73 (3,35)			

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,4854							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Woche 104	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	22	3,09 (3,65)	1,19 (0,48) [0,25; 2,13]	0,97 (0,82) [-0,65; 2,58]	0,2382
		Agalsidase beta	11	0,91 (1,38)	0,22 (0,66) [-1,09; 1,53]		
	Nicht- klassisch	Pegunigalsidase alfa	23	2,57 (3,40)	-0,14 (0,62) [-1,37; 1,09]	0,01 (1,10) [-2,16; 2,19]	
		Agalsidase beta	11	1,91 (3,78)	-0,15 (0,90) [-1,94; 1,63]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.11.5 Region

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,2479							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Europa	Pegunigalsidase alfa	19	2,63 (3,15)	-	-	-
		Agalsidase beta	7	0,57 (1,51)			
	USA	Pegunigalsidase alfa	33	2,27 (3,22)			
		Agalsidase beta	18	1,83 (2,85)			
Woche 104	Europa	Pegunigalsidase alfa	17	2,88 (3,59)	0,59 (0,51) [-0,43; 1,62]	1,72 (1,00) [-0,28; 3,72]	0,0902

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,2479							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	6	0,00 (0,00)	-1,13 (0,85) [-2,83; 0,57]		
	USA	Pegunigalsidase alfa	28	2,79 (3,50)	0,58 (0,54) [-0,50; 1,65]	0,16 (0,90) [-1,62; 1,95]	0,8579
		Agalsidase beta	16	1,94 (3,17)	0,41 (0,72) [-1,01; 1,84]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.11.6 Geschlecht

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,1729							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Männlich	Pegunigalsidase alfa	29	1,79 (2,85)	-	-	-
		Agalsidase beta	18	1,33 (2,09)			
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	23	3,17 (3,45)			
		Agalsidase beta	7	1,86 (3,76)			
Woche 104	Männlich	Pegunigalsidase alfa	23	3,09 (3,57)	1,22 (0,45) [0,34; 2,10]	1,32 (0,71) [-0,08; 2,72]	0,0649
Agalsidase beta		15	0,80 (1,21)	-0,10 (0,55) [-1,19; 0,99]			

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,1729							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	22	2,55 (3,47)	-0,35 (0,67) [-1,69; 0,99]	-0,79 (1,38) [-3,53; 1,94]	0,5663
		Agalsidase beta	7	2,71 (4,64)	0,44 (1,20) [-1,94; 2,82]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.11.7 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,8538							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Ja	Pegunigalsidase alfa	26	2,54 (3,26)	-	-	-
		Agalsidase beta	16	1,25 (2,08)			
	Nein	Pegunigalsidase alfa	26	2,27 (3,13)			
		Agalsidase beta	9	1,89 (3,41)			
Woche 104	Ja	Pegunigalsidase alfa	22	3,09 (3,48)	0,81 (0,61) [-0,39; 2,02]	0,91 (0,97) [-1,01; 2,82]	0,3516
		Agalsidase beta	15	1,40 (2,41)	-0,09 (0,74) [-1,56; 1,38]		
	Nein	Pegunigalsidase alfa	23	2,57 (3,57)	0,41 (0,48) [-0,55; 1,37]	1,16 (0,97) [-0,76; 3,08]	0,2349

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,8538							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	7	1,43 (3,78)	-0,75 (0,84) [-2,41; 0,91]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.11.8 UPCR-Kategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): UPCR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,3747							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	0,5 < und < 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	9	1,22 (1,92)	-	-	-
		Agalsidase beta	2	2,00 (2,83)			
	≤ 0,5 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	36	2,64 (3,39)			
		Agalsidase beta	20	1,65 (2,76)			
	≥ 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	7	2,71 (3,30)			
		Agalsidase beta	3	0,00 (0,00)			
Woche 104	0,5 < und < 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	7	2,43 (2,76)	2,45 (1,25) [-0,21; 5,11]	4,29 (2,79) [-1,63; 10,21]	0,1441
		Agalsidase beta	2	0,00 (0,00)	-1,84 (2,50) [-7,14; 3,46]		
	≤ 0,5 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	32	2,97 (3,70)	0,40 (0,49) [-0,58; 1,38]	0,34 (0,84) [-1,31; 2,00]	0,6824

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): UPCR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,3747							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	17	1,76 (3,13)	0,06 (0,67) [-1,27; 1,38]		
	≥ 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	6	2,50 (3,56)	-0,38 (0,72) [-1,89; 1,12]	0,13 (1,26) [-2,50; 2,76]	0,9194
		Agalsidase beta	3	0,33 (0,58)	-0,51 (1,03) [-2,66; 1,64]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.12 Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz'

2.1.2.1.12.1 ADA-Status zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,4810							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Negativ	Pegunigalsidase alfa	34	2,47 (3,19)	-	-	-
		Agalsidase beta	17	1,47 (2,40)			
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	18	2,22 (3,12)			
		Agalsidase beta	8	2,50 (2,98)			
Woche 104	Negativ	Pegunigalsidase alfa	30	1,80 (2,88)	-0,32 (0,47) [-1,24; 0,61]	-0,41 (0,80) [-1,99; 1,17]	0,6117
		Agalsidase beta	16	1,81 (2,71)	0,09 (0,65) [-1,19; 1,37]		

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,4810							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	15	2,93 (3,61)	0,25 (0,69) [-1,12; 1,62]	0,64 (1,25) [-1,85; 3,13]	0,6108
		Agalsidase beta	6	1,67 (3,14)	-0,39 (1,04) [-2,46; 1,69]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.12.2 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,2404							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	33	2,36 (2,83)	-	-	-
		Agalsidase beta	19	1,74 (2,60)			
	> -5	Pegunigalsidase alfa	19	2,42 (3,70)			
		Agalsidase beta	6	2,00 (2,76)			
Woche 104	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	29	2,38 (3,34)	0,12 (0,50) [-0,86; 1,10]	0,09 (0,80) [-1,49; 1,66]	0,9117
		Agalsidase beta	19	1,84 (2,87)	0,04 (0,62) [-1,20; 1,27]		
	> -5	Pegunigalsidase alfa	16	1,81 (2,83)	-0,76 (0,61) [-1,98; 0,46]	-1,66 (1,26) [-4,18; 0,85]	0,1917

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,2404							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	3	1,33 (2,31)	0,91 (1,10) [-1,30; 3,11]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.12.3 Klassifizierung des Morbus Fabry

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,6552							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	27	1,78 (2,71)	-	-	-
		Agalsidase beta	14	1,71 (2,16)			
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	25	3,04 (3,48)			
		Agalsidase beta	11	1,91 (3,14)			
Woche 104	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	22	2,18 (3,26)	0,54 (0,54) [-0,53; 1,61]	0,14 (0,92) [-1,67; 1,96]	0,8774
		Agalsidase beta	11	1,73 (2,57)	0,40 (0,74) [-1,07; 1,87]		
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	23	2,17 (3,11)	-0,73 (0,56) [-1,84; 0,38]	-0,46 (0,99) [-2,43; 1,51]	0,6427
		Agalsidase beta	11	1,82 (3,06)	-0,27 (0,82) [-1,89; 1,35]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,6552							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.12.4 Region

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,2074							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Europa	Pegunigalsidase alfa	19	1,95 (2,70)	-	-	-
		Agalsidase beta	7	0,71 (1,89)			
	USA	Pegunigalsidase alfa	33	2,64 (3,38)			
		Agalsidase beta	18	2,22 (2,73)			
Woche 104	Europa	Pegunigalsidase alfa	17	2,12 (3,12)	0,30 (0,51) [-0,71; 1,31]	0,87 (0,99) [-1,11; 2,85]	0,3823
		Agalsidase beta	6	0,33 (0,82)	-0,57 (0,85) [-2,26; 1,12]		
	USA	Pegunigalsidase alfa	28	2,21 (3,22)	-0,47 (0,50) [-1,46; 0,51]	-0,76 (0,83) [-2,40; 0,88]	0,3623
		Agalsidase beta	16	2,31 (3,05)	0,28 (0,66) [-1,02; 1,59]		
Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.12.5 Geschlecht

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,2165							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Männlich	Pegunigalsidase alfa	29	2,03 (3,03)	-	-	-
		Agalsidase beta	18	2,00 (2,47)			
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	23	2,83 (3,28)			
		Agalsidase beta	7	1,29 (2,98)			
Woche 104	Männlich	Pegunigalsidase alfa	23	2,22 (3,19)	0,31 (0,52) [-0,71; 1,33]	0,52 (0,82) [-1,10; 2,15]	0,5249
		Agalsidase beta	15	1,60 (2,35)	-0,21 (0,64) [-1,48; 1,05]		
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	22	2,14 (3,18)	-0,66 (0,58) [-1,81; 0,48]	-1,26 (1,18) [-3,60; 1,09]	0,2911
		Agalsidase beta	7	2,14 (3,67)	0,59 (1,03) [-1,45; 2,63]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.12.6 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,7749							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Ja	Pegunigalsidase alfa	26	2,15 (3,06)	-	-	-
		Agalsidase beta	16	2,19 (2,56)			

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,7749							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Woche 104	Nein	Pegunigalsidase alfa	26	2,62 (3,26)			
		Agalsidase beta	9	1,11 (2,62)			
	Ja	Pegunigalsidase alfa	22	2,00 (2,99)	-0,07 (0,62) [-1,29; 1,15]	-0,10 (0,97) [-2,02; 1,83]	0,9194
		Agalsidase beta	15	2,07 (2,69)	0,03 (0,75) [-1,46; 1,52]		
	Nein	Pegunigalsidase alfa	23	2,35 (3,35)	-0,26 (0,44) [-1,14; 0,61]	-0,47 (0,88) [-2,21; 1,27]	0,5907
		Agalsidase beta	7	1,14 (3,02)	0,21 (0,76) [-1,29; 1,71]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.13 Veränderung gegenüber Baseline in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz'

2.1.2.1.13.1 ADA-Status zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,3774							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Negativ	Pegunigalsidase alfa	34	2,41 (2,61)			
		Agalsidase beta	17	1,50 (2,40)	-	-	-
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	18	2,02 (2,86)			

Veränderung gegenüber Baseline in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,3774							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	8	2,55 (2,45)			
Woche 104	Negativ	Pegunigalsidase alfa	30	1,97 (2,91)	-0,13 (0,41) [-0,95; 0,69]	-0,32 (0,71) [-1,73; 1,08]	0,6474
		Agalsidase beta	16	1,98 (2,42)	0,20 (0,57) [-0,93; 1,33]		
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	15	3,16 (3,44)	0,69 (0,53) [-0,36; 1,75]	0,73 (0,96) [-1,18; 2,64]	0,4503
		Agalsidase beta	6	1,81 (2,83)	-0,03 (0,80) [-1,63; 1,56]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.13.2 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,3004							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	33	2,41 (2,56)	-	-	-
		Agalsidase beta	19	1,57 (2,06)			
	> -5	Pegunigalsidase alfa	19	2,05 (2,93)			
		Agalsidase beta	6	2,69 (3,41)			

Veränderung gegenüber Baseline in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,3004							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Woche 104	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	29	2,69 (3,26)	0,41 (0,45) [-0,47; 1,29]	0,14 (0,72) [-1,28; 1,57]	0,8407
		Agalsidase beta	19	1,98 (2,51)	0,27 (0,56) [-0,84; 1,38]		
	> -5	Pegunigalsidase alfa	16	1,77 (2,81)	-0,53 (0,54) [-1,61; 0,54]	-1,24 (1,13) [-3,50; 1,01]	
		Agalsidase beta	3	1,67 (2,64)	0,71 (0,99) [-1,27; 2,69]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.13.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,0945							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	28	2,21 (2,63)	-	-	-
		Agalsidase beta	11	2,34 (3,19)			
	≤60	Pegunigalsidase alfa	13	1,86 (2,04)			
		Agalsidase beta	8	2,11 (1,76)			
	>90	Pegunigalsidase alfa	11	2,94 (3,49)			

Veränderung gegenüber Baseline in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,0945							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	6	0,57 (0,89)			
Woche 104	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	27	2,00 (2,98)	-0,24 (0,46) [-1,15; 0,68]	-0,72 (0,89) [-2,49; 1,05]	0,4203
		Agalsidase beta	9	2,59 (2,93)	0,49 (0,77) [-1,03; 2,01]		
	≤60	Pegunigalsidase alfa	10	3,07 (2,96)	1,43 (0,48) [0,46; 2,40]	1,13 (0,74) [-0,35; 2,62]	0,1314
		Agalsidase beta	8	2,41 (2,23)	0,30 (0,56) [-0,82; 1,42]		
	>90	Pegunigalsidase alfa	8	2,71 (3,89)	-0,99 (1,13) [-3,27; 1,29]	-2,54 (1,90) [-6,39; 1,30]	0,1891
		Agalsidase beta	5	0,00 (0,00)	1,56 (1,53) [-1,52; 4,63]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.13.4 Klassifizierung des Morbus Fabry

Veränderung gegenüber Baseline in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,7587							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	27	1,85 (2,54)	-	-	-
		Agalsidase beta	14	1,78 (1,96)			

Veränderung gegenüber Baseline in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,7587							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Woche 104	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	25	2,74 (2,80)			
		Agalsidase beta	11	1,92 (3,01)			
	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	22	2,42 (3,17)	0,52 (0,38) [-0,23; 1,27]	-0,28 (0,64) [-1,55; 0,99]	0,6634
		Agalsidase beta	11	2,10 (2,17)	0,80 (0,52) [-0,23; 1,83]		
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	23	2,32 (3,12)	-0,27 (0,54) [-1,33; 0,79]	0,07 (0,95) [-1,81; 1,96]	0,9395
		Agalsidase beta	11	1,77 (2,83)	-0,34 (0,78) [-1,89; 1,21]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.13.5 Region

Veränderung gegenüber Baseline in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,5214							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Europa	Pegunigalsidase alfa	19	2,08 (2,58)	-	-	-
		Agalsidase beta	7	0,49 (0,89)			
	USA	Pegunigalsidase alfa	33	2,39 (2,76)			

Veränderung gegenüber Baseline in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,5214							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	18	2,37 (2,64)			
Woche 104	Europa	Pegunigalsidase alfa	17	2,39 (3,24)	0,40 (0,50) [-0,59; 1,40]	0,28 (0,98) [-1,68; 2,23]	0,7777
		Agalsidase beta	6	0,62 (1,15)	0,13 (0,84) [-1,55; 1,80]		
	USA	Pegunigalsidase alfa	28	2,35 (3,09)	-0,13 (0,43) [-0,98; 0,72]	-0,50 (0,72) [-1,92; 0,92]	0,4859
		Agalsidase beta	16	2,43 (2,67)	0,37 (0,57) [-0,76; 1,50]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.13.6 Geschlecht

Veränderung gegenüber Baseline in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,6448							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Männlich	Pegunigalsidase alfa	29	1,95 (2,55)	-	-	-
		Agalsidase beta	18	2,02 (2,32)			
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	23	2,70 (2,84)			
		Agalsidase beta	7	1,37 (2,80)			

Veränderung gegenüber Baseline in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,6448							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Woche 104	Männlich	Pegunigalsidase alfa	23	2,40 (3,10)	0,45 (0,37) [-0,28; 1,18]	0,21 (0,59) [-0,95; 1,38]	0,7167
		Agalsidase beta	15	1,97 (2,09)	0,24 (0,46) [-0,67; 1,14]		
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	22	2,32 (3,19)	-0,28 (0,60) [-1,46; 0,91]	-0,41 (1,22) [-2,84; 2,02]	
		Agalsidase beta	7	1,86 (3,34)	0,13 (1,06) [-1,97; 2,24]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.1.13.7 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,8586							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Ja	Pegunigalsidase alfa	26	2,04 (2,50)	-	-	-
		Agalsidase beta	16	2,16 (2,41)			
	Nein	Pegunigalsidase alfa	26	2,52 (2,88)			
		Agalsidase beta	9	1,27 (2,47)			
Woche 104	Ja	Pegunigalsidase alfa	22	2,38 (2,99)	0,39 (0,51) [-0,61; 1,40]	0,04 (0,80) [-1,54; 1,62]	0,9633

Veränderung gegenüber Baseline in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,8586							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	15	2,29 (2,13)	0,36 (0,62) [-0,87; 1,58]		
	Nein	Pegunigalsidase alfa	23	2,35 (3,29)	-0,19 (0,43) [-1,04; 0,66]	-0,17 (0,85) [-1,86; 1,52]	0,8412
		Agalsidase beta	7	1,18 (3,13)	-0,02 (0,73) [-1,48; 1,44]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.2.2 Responderanalysen für den BPI-SF-Score

2.1.2.2.1 Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'stärkster Schmerz' (Woche 104)

2.1.2.2.1.1 Region

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'stärkster Schmerz' (Woche 104)							
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,6989							
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert	
Europa							
Pegunigalsidase alfa	17	4 (23,5)	1,41 [0,19; 10,26]	1,54 [0,14; 17,33]	0,07 [-0,29; 0,43]	1,0000	
Agalsidase beta	6	1 (16,7)					
USA							
Pegunigalsidase alfa	28	8 (28,6)	2,29 [0,55; 9,48]	2,80 [0,51; 15,23]	0,16 [-0,07; 0,39]	0,2834	
Agalsidase beta	16	2 (12,5)					
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>							

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'stärkster Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,6989						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.1.2 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'stärkster Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,8987						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	29	8 (27,6)	1,75	2,03	0,12	0,4878
Agalsidase beta	19	3 (15,8)	[0,53; 5,77]	[0,46; 8,91]	[-0,11; 0,35]	
> -5						
Pegunigalsidase alfa	16	4 (25,0)	2,12	2,52	0,25	1,0000
Agalsidase beta	3	0 (0,0)	[0,14; 31,86]	[0,11; 58,98]	[0,04; 0,46]	
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.1.3 ADA-Status zu Baseline

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'stärkster Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,5855						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	30	9 (30,0)	2,40	3,00	0,17	0,2822
Agalsidase beta	16	2 (12,5)	[0,59; 9,80]	[0,56; 16,01]	[-0,06; 0,41]	
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	15	3 (20,0)	1,20	1,25	0,03	1,0000
Agalsidase beta	6	1 (16,7)	[0,15; 9,37]	[0,10; 15,11]	[-0,33; 0,39]	
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'stärkster Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,5855						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.2 Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz' (Woche 104)

2.1.2.2.2.1 Region

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,7357						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	17	2 (11,8)	1,94 [0,11; 35,63]	2,10 [0,09; 49,99]	0,12 [-0,04; 0,27]	1,0000
Agalsidase beta	6	0 (0,0)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	28	8 (28,6)	1,14 [0,41; 3,20]	1,20 [0,30; 4,85]	0,04 [-0,23; 0,31]	1,0000
Agalsidase beta	16	4 (25,0)				
Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.2.2 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,3854						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	29	7 (24,1)	1,53 [0,45; 5,19]	1,70 [0,38; 7,59]	0,08 [-0,14; 0,31]	0,7185
Agalsidase beta	19	3 (15,8)				
> -5						

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,3854						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	16	3 (18,8)	0,56 [0,08; 3,75]	0,46 [0,03; 6,93]	-0,15 [-0,71; 0,42]	0,5304
Agalsidase beta	3	1 (33,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.3 Klassifizierung des Morbus Fabry

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,8115						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	22	3 (13,6)	1,50 [0,18; 12,80]	1,58 [0,14; 17,22]	0,05 [-0,18; 0,27]	1,0000
Agalsidase beta	11	1 (9,1)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	23	7 (30,4)	1,12 [0,35; 3,51]	1,17 [0,24; 5,76]	0,03 [-0,29; 0,36]	1,0000
Agalsidase beta	11	3 (27,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.4 ADA-Status zu Baseline

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,3405						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	30	9 (30,0)				0,4977

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,3405						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Agalsidase beta	16	3 (18,8)	1,60 [0,50; 5,09]	1,86 [0,42; 8,15]	0,11 [-0,14; 0,36]	
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	15	1 (6,7)	0,40 [0,03; 5,41]	0,36 [0,02; 6,85]	-0,10 [-0,42; 0,22]	0,5
Agalsidase beta	6	1 (16,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.3 Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz' (Woche 104)

2.1.2.2.3.1 Region

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,5335						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	17	4 (23,5)	3,50 [0,22; 56,88]	4,33 [0,20; 93,15]	0,24 [0,03; 0,44]	0,5392
Agalsidase beta	6	0 (0,0)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	28	7 (25,0)	1,33 [0,40; 4,45]	1,44 [0,32; 6,60]	0,06 [-0,19; 0,31]	0,7237
Agalsidase beta	16	3 (18,8)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.3.2 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,1061						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	29	9 (31,0)	2,95 [0,71; 12,18]	3,83 [0,73; 20,18]	0,21 [-0,01; 0,42]	0,1611
Agalsidase beta	19	2 (10,5)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	16	2 (12,5)	0,38 [0,05; 2,94]	0,29 [0,02; 4,80]	-0,21 [-0,77; 0,35]	0,4221
Agalsidase beta	3	1 (33,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.3.3 ADA-Status zu Baseline

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,6522						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	30	8 (26,7)	2,13 [0,51; 8,88]	2,55 [0,47; 13,77]	0,14 [-0,08; 0,37]	0,4552
Agalsidase beta	16	2 (12,5)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	15	3 (20,0)	1,20 [0,15; 9,37]	1,25 [0,10; 15,11]	0,03 [-0,33; 0,39]	1,0000
Agalsidase beta	6	1 (16,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.4 Responderanalyse für Verbesserung in 'durchschnittlicher Schmerz' (Woche 104)

2.1.2.2.4.1 Geschlecht

Responderanalyse für Verbesserung in 'durchschnittlicher Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,3402						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	22	6 (27,3)	1,91 [0,27; 13,27]	2,25 [0,22; 22,79]	0,13 [-0,19; 0,45]	0,6457
Agalsidase beta	7	1 (14,3)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	23	5 (21,7)	0,65 [0,23; 1,87]	0,56 [0,13; 2,39]	-0,12 [-0,41; 0,18]	0,4726
Agalsidase beta	15	5 (33,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.4.2 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'durchschnittlicher Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,4856						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	29	7 (24,1)	0,76 [0,30; 1,93]	0,69 [0,19; 2,50]	-0,07 [-0,34; 0,19]	0,7413
Agalsidase beta	19	6 (31,6)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	16	4 (25,0)	2,12 [0,14; 31,86]	2,52 [0,11; 58,98]	0,25 [0,04; 0,46]	1,0000
Agalsidase beta	3	0 (0,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.4.3 ADA-Status zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'durchschnittlicher Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,7674						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	30	8 (26,7)	0,85 [0,33; 2,18]	0,80 [0,21; 3,03]	-0,05 [-0,32; 0,23]	0,7441
Agalsidase beta	16	5 (31,2)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	15	3 (20,0)	1,20 [0,15; 9,37]	1,25 [0,10; 15,11]	0,03 [-0,33; 0,39]	1,0000
Agalsidase beta	6	1 (16,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.5 Responderanalyse für Verbesserung in 'stärkster Schmerz' (Woche 104)

2.1.2.2.5.1 Geschlecht

Responderanalyse für Verbesserung in 'stärkster Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,2795						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	22	9 (40,9)	0,95 [0,35; 2,57]	0,92 [0,17; 5,16]	-0,02 [-0,44; 0,40]	1,0000
Agalsidase beta	7	3 (42,9)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	23	10 (43,5)	2,17 [0,71; 6,62]	3,08 [0,68; 13,93]	0,23 [-0,05; 0,52]	0,1755
Agalsidase beta	15	3 (20,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.5.2 Region

Responderanalyse für Verbesserung in 'stärkster Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,7377						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	17	6 (35,3)	2,12 [0,32; 14,18]	2,73 [0,26; 29,07]	0,19 [-0,19; 0,56]	0,6214
Agalsidase beta	6	1 (16,7)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	28	13 (46,4)	1,49 [0,65; 3,40]	1,91 [0,52; 6,94]	0,15 [-0,14; 0,44]	0,3607
Agalsidase beta	16	5 (31,2)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.5.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'stärkster Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,8164						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤60						
Pegunigalsidase alfa	8	4 (50,0)	2,50 [0,38; 16,47]	4,00 [0,30; 53,47]	0,30 [-0,19; 0,79]	0,5649
Agalsidase beta	5	1 (20,0)				
>90						
Pegunigalsidase alfa	27	12 (44,4)	1,33 [0,48; 3,68]	1,60 [0,33; 7,77]	0,11 [-0,25; 0,47]	0,7050
Agalsidase beta	9	3 (33,3)				
60 < und ≤ 90						
Pegunigalsidase alfa	10	3 (30,0)	1,20 [0,26; 5,53]	1,29 [0,16; 10,45]	0,05 [-0,36; 0,46]	1,0000
Agalsidase beta	8	2 (25,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.5.4 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'stärkster Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,4822						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	29	12 (41,4)	1,31 [0,59; 2,89]	1,53 [0,45; 5,17]	0,10 [-0,18; 0,37]	0,5544
Agalsidase beta	19	6 (31,6)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	16	7 (43,8)	3,53 [0,25; 49,83]	5,53 [0,25; 124,40]	0,44 [0,19; 0,68]	0,2632
Agalsidase beta	3	0 (0,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.5.5 Klassifizierung des Morbus Fabry

Responderanalyse für Verbesserung in 'stärkster Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,4467						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	22	9 (40,9)	2,25 [0,58; 8,68]	3,12 [0,54; 17,97]	0,23 [-0,08; 0,53]	0,2585
Agalsidase beta	11	2 (18,2)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	23	10 (43,5)	1,20 [0,48; 2,97]	1,35 [0,31; 5,91]	0,07 [-0,28; 0,42]	1,0000
Agalsidase beta	11	4 (36,4)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.5.6 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'stärkster Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,3569						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	23	10 (43,5)	1,01 [0,38; 2,69]	1,03 [0,19; 5,66]	0,01 [-0,41; 0,43]	1,0000
Agalsidase beta	7	3 (42,9)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	22	9 (40,9)	2,05 [0,66; 6,33]	2,77 [0,60; 12,71]	0,21 [-0,08; 0,50]	0,2863
Agalsidase beta	15	3 (20,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.5.7 ADA-Status zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'stärkster Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,6033						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	30	13 (43,3)	1,39 [0,60; 3,19]	1,68 [0,47; 6,05]	0,12 [-0,17; 0,41]	0,5326
Agalsidase beta	16	5 (31,2)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	15	6 (40,0)	2,40 [0,36; 15,94]	3,33 [0,31; 36,11]	0,23 [-0,15; 0,62]	0,6126
Agalsidase beta	6	1 (16,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.6 Responderanalyse für Verbesserung in 'geringster Schmerz' (Woche 104)

2.1.2.2.6.1 Geschlecht

Responderanalyse für Verbesserung in 'geringster Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,0579						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	22	9 (40,9)	2,86 [0,44; 18,82]	4,15 [0,42; 40,66]	0,27 [-0,06; 0,60]	0,3667
Agalsidase beta	7	1 (14,3)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	23	3 (13,0)	0,33 [0,10; 1,11]	0,22 [0,05; 1,11]	-0,27 [-0,55; 0,01]	0,1154
Agalsidase beta	15	6 (40,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.6.2 Region

Responderanalyse für Verbesserung in 'geringster Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,8031						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	17	2 (11,8)	0,71 [0,08; 6,45]	0,67 [0,05; 9,02]	-0,05 [-0,38; 0,29]	1,0000
Agalsidase beta	6	1 (16,7)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	28	10 (35,7)	0,95 [0,43; 2,13]	0,93 [0,26; 3,31]	-0,02 [-0,31; 0,28]	1,0000
Agalsidase beta	16	6 (37,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.6.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'geringster Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,4430						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤60						
Pegunigalsidase alfa	8	2 (25,0)	1,25 [0,15; 10,46]	1,33 [0,09; 20,11]	0,05 [-0,41; 0,51]	1,0000
Agalsidase beta	5	1 (20,0)				
>90						
Pegunigalsidase alfa	27	8 (29,6)	1,33 [0,34; 5,16]	1,47 [0,25; 8,70]	0,07 [-0,25; 0,40]	1,0000
Agalsidase beta	9	2 (22,2)				
60 < und ≤ 90						
Pegunigalsidase alfa	10	2 (20,0)	0,40 [0,10; 1,66]	0,25 [0,03; 2,00]	-0,30 [-0,73; 0,13]	0,3213
Agalsidase beta	8	4 (50,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.6.4 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'geringster Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,8822						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	29	8 (27,6)	0,87 [0,36; 2,12]	0,83 [0,23; 2,92]	-0,04 [-0,30; 0,22]	1,0000
Agalsidase beta	19	6 (31,6)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	16	4 (25,0)	0,75 [0,12; 4,59]	0,67 [0,05; 9,47]	-0,08 [-0,66; 0,49]	1,0000
Agalsidase beta	3	1 (33,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.6.5 Klassifizierung des Morbus Fabry

Responderanalyse für Verbesserung in 'geringster Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,1230						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	22	3 (13,6)	0,38 [0,10; 1,39]	0,28 [0,05; 1,56]	-0,23 [-0,55; 0,09]	0,1863
Agalsidase beta	11	4 (36,4)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	23	9 (39,1)	1,43 [0,48; 4,27]	1,71 [0,36; 8,23]	0,12 [-0,21; 0,45]	0,7049
Agalsidase beta	11	3 (27,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.6.6 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'geringster Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,5556						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	23	5 (21,7)	1,52 [0,21; 10,95]	1,67 [0,16; 17,26]	0,07 [-0,23; 0,38]	1,0000
Agalsidase beta	7	1 (14,3)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	22	7 (31,8)	0,80 [0,33; 1,90]	0,70 [0,18; 2,75]	-0,08 [-0,40; 0,23]	0,7304
Agalsidase beta	15	6 (40,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.6.7 ADA-Status zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'geringster Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,9300						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	30	10 (33,3)	0,89 [0,40; 2,00]	0,83 [0,24; 2,95]	-0,04 [-0,33; 0,25]	1,0000
Agalsidase beta	16	6 (37,5)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	15	2 (13,3)	0,80 [0,09; 7,26]	0,77 [0,06; 10,49]	-0,03 [-0,38; 0,31]	1,0000
Agalsidase beta	6	1 (16,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.7 Responderanalyse für Verbesserung in 'momentaner Schmerz' (Woche 104)

2.1.2.2.7.1 Geschlecht

Responderanalyse für Verbesserung in 'momentaner Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,8646						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	22	7 (31,8)	0,74 [0,26; 2,12]	0,62 [0,11; 3,56]	-0,11 [-0,53; 0,30]	0,6647
Agalsidase beta	7	3 (42,9)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	23	5 (21,7)	0,65 [0,23; 1,87]	0,56 [0,13; 2,39]	-0,12 [-0,41; 0,18]	0,4726
Agalsidase beta	15	5 (33,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.7.2 Region

Responderanalyse für Verbesserung in 'momentaner Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,3851						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	17	4 (23,5)	0,47 [0,15; 1,52]	0,31 [0,04; 2,17]	-0,26 [-0,71; 0,18]	0,3185
Agalsidase beta	6	3 (50,0)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	28	8 (28,6)	0,91 [0,36; 2,33]	0,88 [0,23; 3,35]	-0,03 [-0,31; 0,26]	1,0000
Agalsidase beta	16	5 (31,2)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.7.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'momentaner Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,4042						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤60						
Pegunigalsidase alfa	8	3 (37,5)	1,88 [0,26; 13,42]	2,40 [0,18; 32,88]	0,17 [-0,31; 0,66]	1,0000
Agalsidase beta	5	1 (20,0)				
>90						
Pegunigalsidase alfa	27	8 (29,6)	0,67 [0,26; 1,70]	0,53 [0,11; 2,49]	-0,15 [-0,52; 0,22]	0,4428
Agalsidase beta	9	4 (44,4)				
60 < und ≤ 90						
Pegunigalsidase alfa	10	1 (10,0)	0,27 [0,03; 2,10]	0,19 [0,01; 2,29]	-0,28 [-0,66; 0,11]	0,2745
Agalsidase beta	8	3 (37,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.7.4 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'momentaner Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,1144						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	29	9 (31,0)	0,98 [0,42; 2,31]	0,98 [0,28; 3,39]	-0,01 [-0,27; 0,26]	1,0000
Agalsidase beta	19	6 (31,6)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	16	3 (18,8)	0,28 [0,08; 1,03]	0,12 [0,01; 1,73]	-0,48 [-1,05; 0,09]	0,1548
Agalsidase beta	3	2 (66,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.7.5 Klassifizierung des Morbus Fabry

Responderanalyse für Verbesserung in 'momentaner Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,3480						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	22	5 (22,7)	1,25 [0,29; 5,44]	1,32 [0,21; 8,23]	0,05 [-0,24; 0,33]	1,0000
Agalsidase beta	11	2 (18,2)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	23	7 (30,4)	0,56 [0,25; 1,27]	0,36 [0,08; 1,61]	-0,24 [-0,59; 0,11]	0,2619
Agalsidase beta	11	6 (54,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.7.6 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'momentaner Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,6948						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	23	6 (26,1)	0,61 [0,20; 1,82]	0,47 [0,08; 2,74]	-0,17 [-0,58; 0,24]	0,6402
Agalsidase beta	7	3 (42,9)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	22	6 (27,3)	0,82 [0,30; 2,20]	0,75 [0,18; 3,12]	-0,06 [-0,36; 0,24]	0,7277
Agalsidase beta	15	5 (33,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.7.7 ADA-Status zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'momentaner Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,7449						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	30	9 (30,0)	0,80 [0,35; 1,85]	0,71 [0,20; 2,56]	-0,07 [-0,36; 0,21]	0,7435
Agalsidase beta	16	6 (37,5)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	15	3 (20,0)	0,60 [0,13; 2,74]	0,50 [0,06; 4,15]	-0,13 [-0,56; 0,29]	0,5975
Agalsidase beta	6	2 (33,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.8 Responderanalyse für Verbesserung in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz' (Woche 104)

2.1.2.2.8.1 Geschlecht

Responderanalyse für Verbesserung in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,8828						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	22	8 (36,4)	0,85 [0,31; 2,35]	0,76 [0,13; 4,30]	-0,06 [-0,48; 0,35]	1,0000
Agalsidase beta	7	3 (42,9)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	23	10 (43,5)	0,93 [0,46; 1,90]	0,88 [0,24; 3,25]	-0,03 [-0,36; 0,29]	1,0000
Agalsidase beta	15	7 (46,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.8.2 Region

Responderanalyse für Verbesserung in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,8893						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	17	7 (41,2)	0,82 [0,31; 2,20]	0,70 [0,11; 4,54]	-0,09 [-0,55; 0,38]	1,0000
Agalsidase beta	6	3 (50,0)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	28	11 (39,3)	0,90 [0,44; 1,85]	0,83 [0,24; 2,89]	-0,04 [-0,35; 0,26]	1,0000
Agalsidase beta	16	7 (43,8)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.8.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,5222						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤60						
Pegunigalsidase alfa	8	5 (62,5)	1,56 [0,47; 5,19]	2,50 [0,25; 24,72]	0,22 [-0,32; 0,77]	0,5921
Agalsidase beta	5	2 (40,0)				
>90						
Pegunigalsidase alfa	27	10 (37,0)	0,83 [0,35; 2,01]	0,74 [0,16; 3,39]	-0,07 [-0,45; 0,30]	0,7115
Agalsidase beta	9	4 (44,4)				
60 < und ≤ 90						
Pegunigalsidase alfa	10	3 (30,0)	0,60 [0,19; 1,94]	0,43 [0,06; 2,97]	-0,20 [-0,65; 0,25]	0,6305
Agalsidase beta	8	4 (50,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.8.4 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,6053						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	29	11 (37,9)	0,90 [0,45; 1,82]	0,84 [0,26; 2,73]	-0,04 [-0,33; 0,24]	1,0000
Agalsidase beta	19	8 (42,1)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	16	7 (43,8)	0,66 [0,25; 1,74]	0,39 [0,03; 5,21]	-0,23 [-0,82; 0,36]	0,5820
Agalsidase beta	3	2 (66,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.8.5 Klassifizierung des Morbus Fabry

Responderanalyse für Verbesserung in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,4584						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	22	9 (40,9)	1,12 [0,44; 2,85]	1,21 [0,27; 5,40]	0,05 [-0,31; 0,40]	1,0000
Agalsidase beta	11	4 (36,4)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	23	9 (39,1)	0,72 [0,34; 1,51]	0,54 [0,13; 2,29]	-0,15 [-0,51; 0,20]	0,4748
Agalsidase beta	11	6 (54,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.8.6 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,7613						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	23	10 (43,5)	0,76 [0,34; 1,68]	0,58 [0,10; 3,19]	-0,14 [-0,56; 0,28]	0,6746
Agalsidase beta	7	4 (57,1)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	22	8 (36,4)	0,91 [0,40; 2,09]	0,86 [0,22; 3,31]	-0,04 [-0,36; 0,28]	1,0000
Agalsidase beta	15	6 (40,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.8.7 ADA-Status zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,5831						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	30	12 (40,0)	0,80 [0,41; 1,54]	0,67 [0,20; 2,26]	-0,10 [-0,40; 0,20]	0,5481
Agalsidase beta	16	8 (50,0)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	15	6 (40,0)	1,20 [0,33; 4,36]	1,33 [0,18; 9,72]	0,07 [-0,38; 0,52]	1,0000
Agalsidase beta	6	2 (33,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.9 Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz' (Woche 104)

2.1.2.2.9.1 Geschlecht

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,2635						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	22	9 (40,9)	2,86 [0,44; 18,82]	4,15 [0,42; 40,66]	0,27 [-0,06; 0,60]	0,3667
Agalsidase beta	7	1 (14,3)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	23	5 (21,7)	0,82 [0,26; 2,56]	0,76 [0,17; 3,47]	-0,05 [-0,33; 0,23]	1,0000
Agalsidase beta	15	4 (26,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.9.2 Region

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,8212						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	17	2 (11,8)	1,94 [0,11; 35,63]	2,10 [0,09; 49,99]	0,12 [-0,04; 0,27]	1,0000
Agalsidase beta	6	0 (0,0)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	28	12 (42,9)	1,37 [0,59; 3,19]	1,65 [0,45; 6,03]	0,12 [-0,18; 0,41]	0,5307
Agalsidase beta	16	5 (31,2)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.9.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,1865						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤60						
Pegunigalsidase alfa	8	2 (25,0)	1,25 [0,15; 10,46]	1,33 [0,09; 20,11]	0,05 [-0,41; 0,51]	1,0000
Agalsidase beta	5	1 (20,0)				
>90						
Pegunigalsidase alfa	27	11 (40,7)	3,67 [0,55; 24,59]	5,50 [0,60; 50,44]	0,30 [0,02; 0,57]	0,2193
Agalsidase beta	9	1 (11,1)				
60 < und ≤ 90						
Pegunigalsidase alfa	10	1 (10,0)	0,27 [0,03; 2,10]	0,19 [0,01; 2,29]	-0,28 [-0,66; 0,11]	0,2745
Agalsidase beta	8	3 (37,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.9.4 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,4599						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	29	10 (34,5)	1,64 [0,60; 4,47]	1,97 [0,52; 7,56]	0,13 [-0,12; 0,39]	0,3541
Agalsidase beta	19	4 (21,1)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	16	4 (25,0)	0,75 [0,12; 4,59]	0,67 [0,05; 9,47]	-0,08 [-0,66; 0,49]	1,0000
Agalsidase beta	3	1 (33,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.9.5 Klassifizierung des Morbus Fabry

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,8827						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	22	5 (22,7)	1,25 [0,29; 5,44]	1,32 [0,21; 8,23]	0,05 [-0,24; 0,33]	1,0000
Agalsidase beta	11	2 (18,2)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	23	9 (39,1)	1,43 [0,48; 4,27]	1,71 [0,36; 8,23]	0,12 [-0,21; 0,45]	0,7049
Agalsidase beta	11	3 (27,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.9.6 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,6023						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	23	7 (30,4)	2,13 [0,31; 14,49]	2,62 [0,26; 26,07]	0,16 [-0,16; 0,48]	0,6378
Agalsidase beta	7	1 (14,3)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	22	7 (31,8)	1,19 [0,42; 3,37]	1,28 [0,30; 5,49]	0,05 [-0,25; 0,35]	1,0000
Agalsidase beta	15	4 (26,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.9.7 ADA-Status zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,2201						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	30	11 (36,7)	1,96 [0,64; 6,01]	2,51 [0,58; 10,79]	0,18 [-0,08; 0,44]	0,3161
Agalsidase beta	16	3 (18,8)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	15	3 (20,0)	0,60 [0,13; 2,74]	0,50 [0,06; 4,15]	-0,13 [-0,56; 0,29]	0,5975
Agalsidase beta	6	2 (33,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.10 Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz' (Woche 104)

2.1.2.2.10.1 Geschlecht

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,4060						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	22	8 (36,4)	2,55 [0,38; 16,97]	3,43 [0,35; 33,80]	0,22 [-0,11; 0,55]	0,3816
Agalsidase beta	7	1 (14,3)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	23	8 (34,8)	1,04 [0,42; 2,59]	1,07 [0,27; 4,22]	0,01 [-0,29; 0,32]	1,0000
Agalsidase beta	15	5 (33,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.10.2 Region

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,4480						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	17	4 (23,5)	3,50 [0,22; 56,88]	4,33 [0,20; 93,15]	0,24 [0,03; 0,44]	0,5392
Agalsidase beta	6	0 (0,0)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	28	12 (42,9)	1,14 [0,53; 2,45]	1,25 [0,35; 4,40]	0,05 [-0,25; 0,35]	0,7614
Agalsidase beta	16	6 (37,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.10.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,2239						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤60						
Pegunigalsidase alfa	8	4 (50,0)	2,50 [0,38; 16,47]	4,00 [0,30; 53,47]	0,30 [-0,19; 0,79]	0,5649
Agalsidase beta	5	1 (20,0)				
>90						
Pegunigalsidase alfa	27	11 (40,7)	1,83 [0,50; 6,76]	2,41 [0,42; 13,83]	0,19 [-0,14; 0,51]	0,4378
Agalsidase beta	9	2 (22,2)				
60 < und ≤ 90						
Pegunigalsidase alfa	10	1 (10,0)	0,27 [0,03; 2,10]	0,19 [0,01; 2,29]	-0,28 [-0,66; 0,11]	0,2745
Agalsidase beta	8	3 (37,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.10.4 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,6683						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	29	11 (37,9)	1,44 [0,59; 3,49]	1,71 [0,48; 6,07]	0,12 [-0,15; 0,38]	0,5352
Agalsidase beta	19	5 (26,3)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	16	5 (31,2)	0,94 [0,16; 5,44]	0,91 [0,07; 12,52]	-0,02 [-0,60; 0,56]	1,0000
Agalsidase beta	3	1 (33,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.10.5 Klassifizierung des Morbus Fabry

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,9559						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	22	8 (36,4)	1,33 [0,44; 4,05]	1,52 [0,31; 7,44]	0,09 [-0,24; 0,42]	0,7092
Agalsidase beta	11	3 (27,3)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	23	8 (34,8)	1,28 [0,42; 3,89]	1,42 [0,29; 6,91]	0,08 [-0,25; 0,40]	1,0000
Agalsidase beta	11	3 (27,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.10.6 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,4544						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	23	8 (34,8)	2,43 [0,36; 16,26]	3,20 [0,33; 31,42]	0,20 [-0,12; 0,53]	0,3932
Agalsidase beta	7	1 (14,3)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	22	8 (36,4)	1,09 [0,44; 2,69]	1,14 [0,29; 4,55]	0,03 [-0,28; 0,34]	1,0000
Agalsidase beta	15	5 (33,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.10.7 ADA-Status zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,6498						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	30	11 (36,7)	1,47 [0,56; 3,87]	1,74 [0,45; 6,72]	0,12 [-0,16; 0,39]	0,5197
Agalsidase beta	16	4 (25,0)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	15	5 (33,3)	1,00 [0,26; 3,81]	1,00 [0,13; 7,45]	0,00 [-0,45; 0,45]	1,0000
Agalsidase beta	6	2 (33,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.11 Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz' (Woche 104)

2.1.2.2.11.1 Geschlecht

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,3272						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	22	6 (27,3)	1,91 [0,27; 13,27]	2,25 [0,22; 22,79]	0,13 [-0,19; 0,45]	0,6457
Agalsidase beta	7	1 (14,3)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	23	6 (26,1)	0,65 [0,26; 1,65]	0,53 [0,13; 2,13]	-0,14 [-0,45; 0,17]	0,4809
Agalsidase beta	15	6 (40,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.11.2 Region

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,7654						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	17	4 (23,5)	0,71 [0,17; 2,92]	0,62 [0,08; 4,70]	-0,10 [-0,53; 0,33]	0,6322
Agalsidase beta	6	2 (33,3)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	28	8 (28,6)	0,91 [0,36; 2,33]	0,88 [0,23; 3,35]	-0,03 [-0,31; 0,26]	1,0000
Agalsidase beta	16	5 (31,2)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.11.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,5191						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤60						
Pegunigalsidase alfa	8	2 (25,0)	3,33 [0,19; 57,93]	4,23 [0,17; 108,22]	0,25 [-0,05; 0,55]	0,4872
Agalsidase beta	5	0 (0,0)				
>90						
Pegunigalsidase alfa	27	7 (25,9)	0,58 [0,22; 1,54]	0,44 [0,09; 2,11]	-0,19 [-0,55; 0,18]	0,4088
Agalsidase beta	9	4 (44,4)				
60 < und ≤ 90						
Pegunigalsidase alfa	10	3 (30,0)	0,80 [0,22; 2,94]	0,71 [0,10; 5,12]	-0,07 [-0,51; 0,36]	1,0000
Agalsidase beta	8	3 (37,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.11.4 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,0780						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	29	9 (31,0)	1,18 [0,47; 2,98]	1,26 [0,35; 4,57]	0,05 [-0,21; 0,31]	1,0000
Agalsidase beta	19	5 (26,3)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	16	3 (18,8)	0,28 [0,08; 1,03]	0,12 [0,01; 1,73]	-0,48 [-1,05; 0,09]	0,1548
Agalsidase beta	3	2 (66,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.11.5 Klassifizierung des Morbus Fabry

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,7622						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	22	6 (27,3)	0,75 [0,27; 2,12]	0,66 [0,14; 3,08]	-0,09 [-0,43; 0,25]	0,6960
Agalsidase beta	11	4 (36,4)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	23	6 (26,1)	0,96 [0,29; 3,13]	0,94 [0,19; 4,76]	-0,01 [-0,33; 0,31]	1,0000
Agalsidase beta	11	3 (27,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.11.6 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,5556						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	23	5 (21,7)	1,52 [0,21; 10,95]	1,67 [0,16; 17,26]	0,07 [-0,23; 0,38]	1,0000
Agalsidase beta	7	1 (14,3)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	22	7 (31,8)	0,80 [0,33; 1,90]	0,70 [0,18; 2,75]	-0,08 [-0,40; 0,23]	0,7304
Agalsidase beta	15	6 (40,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.11.7 ADA-Status zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,9404						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	30	8 (26,7)	0,85 [0,33; 2,18]	0,80 [0,21; 3,03]	-0,05 [-0,32; 0,23]	0,7441
Agalsidase beta	16	5 (31,2)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	15	4 (26,7)	0,80 [0,20; 3,27]	0,73 [0,09; 5,63]	-0,07 [-0,51; 0,37]	1,0000
Agalsidase beta	6	2 (33,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.12 Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz' (Woche 104)

2.1.2.2.12.1 Geschlecht

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,8649						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	22	8 (36,4)	1,27 [0,35; 4,65]	1,43 [0,22; 9,14]	0,08 [-0,31; 0,47]	1,0000
Agalsidase beta	7	2 (28,6)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	23	5 (21,7)	1,09 [0,30; 3,89]	1,11 [0,22; 5,54]	0,02 [-0,25; 0,28]	1,0000
Agalsidase beta	15	3 (20,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.12.2 Region

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,7973						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	17	3 (17,6)	1,06 [0,13; 8,33]	1,07 [0,09; 12,83]	0,01 [-0,34; 0,36]	1,0000
Agalsidase beta	6	1 (16,7)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	28	10 (35,7)	1,43 [0,53; 3,82]	1,67 [0,42; 6,56]	0,11 [-0,17; 0,38]	0,5210
Agalsidase beta	16	4 (25,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.12.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,9651						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤60						
Pegunigalsidase alfa	8	2 (25,0)	1,25 [0,15; 10,46]	1,33 [0,09; 20,11]	0,05 [-0,41; 0,51]	1,0000
Agalsidase beta	5	1 (20,0)				
>90						
Pegunigalsidase alfa	27	10 (37,0)	1,11 [0,39; 3,16]	1,18 [0,24; 5,77]	0,04 [-0,32; 0,39]	1,0000
Agalsidase beta	9	3 (33,3)				
60 < und ≤ 90						
Pegunigalsidase alfa	10	1 (10,0)	0,80 [0,06; 10,89]	0,78 [0,04; 14,75]	-0,03 [-0,32; 0,27]	1,0000
Agalsidase beta	8	1 (12,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.12.4 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,1094						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	29	8 (27,6)	1,75 [0,53; 5,77]	2,03 [0,46; 8,91]	0,12 [-0,11; 0,35]	0,4878
Agalsidase beta	19	3 (15,8)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	16	5 (31,2)	0,47 [0,16; 1,38]	0,23 [0,02; 3,13]	-0,35 [-0,93; 0,23]	0,5232
Agalsidase beta	3	2 (66,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.12.5 Klassifizierung des Morbus Fabry

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,4002						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	22	5 (22,7)	2,50 [0,33; 18,87]	2,94 [0,30; 28,89]	0,14 [-0,11; 0,38]	0,6367
Agalsidase beta	11	1 (9,1)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	23	8 (34,8)	0,96 [0,37; 2,50]	0,93 [0,21; 4,18]	-0,02 [-0,36; 0,33]	1,0000
Agalsidase beta	11	4 (36,4)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.12.6 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,5457						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	23	6 (26,1)	0,91 [0,23; 3,55]	0,88 [0,13; 5,81]	-0,02 [-0,40; 0,35]	1,0000
Agalsidase beta	7	2 (28,6)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	22	7 (31,8)	1,59 [0,49; 5,19]	1,87 [0,40; 8,80]	0,12 [-0,16; 0,40]	0,4806
Agalsidase beta	15	3 (20,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.12.7 ADA-Status zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,2619						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	30	10 (33,3)	1,78 [0,57; 5,55]	2,17 [0,50; 9,40]	0,15 [-0,11; 0,40]	0,4929
Agalsidase beta	16	3 (18,8)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	15	3 (20,0)	0,60 [0,13; 2,74]	0,50 [0,06; 4,15]	-0,13 [-0,56; 0,29]	0,5975
Agalsidase beta	6	2 (33,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.13 Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz' (Woche 104)

2.1.2.2.13.1 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,0589						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	29	9 (31,0)	5,90 [0,81; 42,85]	8,10 [0,93; 70,37]	0,26 [0,06; 0,45]	0,0654
Agalsidase beta	19	1 (5,3)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	16	2 (12,5)	0,38 [0,05; 2,94]	0,29 [0,02; 4,80]	-0,21 [-0,77; 0,35]	0,4221
Agalsidase beta	3	1 (33,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.13.2 ADA-Status zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,2356						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	30	9 (30,0)	4,80 [0,67; 34,59]	6,43 [0,73; 56,28]	0,24 [0,04; 0,44]	0,1302
Agalsidase beta	16	1 (6,2)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	15	2 (13,3)	0,80 [0,09; 7,26]	0,77 [0,06; 10,49]	-0,03 [-0,38; 0,31]	1,0000
Agalsidase beta	6	1 (16,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.14 Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz' (Woche 104)

2.1.2.2.14.1 ADA-Status zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,2356						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	30	9 (30,0)	2,40 [0,59; 9,80]	3,00 [0,56; 16,01]	0,17 [-0,06; 0,41]	0,2822
Agalsidase beta	16	2 (12,5)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	15	1 (6,7)	0,40 [0,03; 5,41]	0,36 [0,02; 6,85]	-0,10 [-0,42; 0,22]	0,5000
Agalsidase beta	6	1 (16,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.15 Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz' (Woche 104)

2.1.2.2.15.1 Geschlecht

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,2572						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	22	8 (36,4)	2,55 [0,38; 16,97]	3,43 [0,35; 33,80]	0,22 [-0,11; 0,55]	0,3816
Agalsidase beta	7	1 (14,3)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	23	7 (30,4)	0,76 [0,32; 1,83]	0,66 [0,17; 2,56]	-0,10 [-0,41; 0,22]	0,7281
Agalsidase beta	15	6 (40,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.15.2 Region

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,7839						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	17	4 (23,5)	1,41 [0,19; 10,26]	1,54 [0,14; 17,33]	0,07 [-0,29; 0,43]	1,0000
Agalsidase beta	6	1 (16,7)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	28	11 (39,3)	1,05 [0,48; 2,29]	1,08 [0,30; 3,82]	0,02 [-0,28; 0,32]	1,0000
Agalsidase beta	16	6 (37,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.15.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,1567						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤60						
Pegunigalsidase alfa	8	3 (37,5)	1,88 [0,26; 13,42]	2,40 [0,18; 32,88]	0,17 [-0,31; 0,66]	1,0000
Agalsidase beta	5	1 (20,0)				
>90						
Pegunigalsidase alfa	27	11 (40,7)	1,83 [0,50; 6,76]	2,41 [0,42; 13,83]	0,19 [-0,14; 0,51]	0,4378
Agalsidase beta	9	2 (22,2)				
60 < und ≤ 90						
Pegunigalsidase alfa	10	1 (10,0)	0,20 [0,03; 1,45]	0,11 [0,01; 1,34]	-0,40 [-0,79; -0,01]	0,1176
Agalsidase beta	8	4 (50,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.15.4 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,4202						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	29	12 (41,4)	1,31 [0,59; 2,89]	1,53 [0,45; 5,17]	0,10 [-0,18; 0,37]	0,5544
Agalsidase beta	19	6 (31,6)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	16	3 (18,8)	0,56 [0,08; 3,75]	0,46 [0,03; 6,93]	-0,15 [-0,71; 0,42]	0,5304
Agalsidase beta	3	1 (33,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.15.5 Klassifizierung des Morbus Fabry

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,6209						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	22	7 (31,8)	0,88 [0,32; 2,36]	0,82 [0,18; 3,74]	-0,05 [-0,39; 0,30]	1,0000
Agalsidase beta	11	4 (36,4)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	23	8 (34,8)	1,28 [0,42; 3,89]	1,42 [0,29; 6,91]	0,08 [-0,25; 0,40]	1,0000
Agalsidase beta	11	3 (27,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.15.6 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,4243						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	23	7 (30,4)	2,13 [0,31; 14,49]	2,62 [0,26; 26,07]	0,16 [-0,16; 0,48]	0,6378
Agalsidase beta	7	1 (14,3)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	22	8 (36,4)	0,91 [0,40; 2,09]	0,86 [0,22; 3,31]	-0,04 [-0,36; 0,28]	1,0000
Agalsidase beta	15	6 (40,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.15.7 ADA-Status zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,4471						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	30	10 (33,3)	0,89 [0,40; 2,00]	0,83 [0,24; 2,95]	-0,04 [-0,33; 0,25]	1,0000
Agalsidase beta	16	6 (37,5)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	15	5 (33,3)	2,00 [0,29; 13,74]	2,50 [0,23; 27,57]	0,17 [-0,22; 0,55]	0,6227
Agalsidase beta	6	1 (16,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.16 Responderanalyse für Verbesserung in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz' (Woche 104)

2.1.2.2.16.1 Geschlecht

Responderanalyse für Verbesserung in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,9209						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	22	10 (45,5)	1,59 [0,45; 5,60]	2,08 [0,33; 13,15]	0,17 [-0,23; 0,56]	0,6645
Agalsidase beta	7	2 (28,6)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	23	9 (39,1)	1,47 [0,55; 3,92]	1,77 [0,43; 7,30]	0,12 [-0,18; 0,42]	0,5015
Agalsidase beta	15	4 (26,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.16.2 Region

Responderanalyse für Verbesserung in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,3273						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	17	5 (29,4)	0,88 [0,23; 3,40]	0,83 [0,11; 6,11]	-0,04 [-0,47; 0,40]	1,0000
Agalsidase beta	6	2 (33,3)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	28	14 (50,0)	2,00 [0,79; 5,05]	3,00 [0,78; 11,60]	0,25 [-0,03; 0,53]	0,1251
Agalsidase beta	16	4 (25,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.16.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,7121						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤60						
Pegunigalsidase alfa	8	4 (50,0)	2,50 [0,38; 16,47]	4,00 [0,30; 53,47]	0,30 [-0,19; 0,79]	0,5649
Agalsidase beta	5	1 (20,0)				
>90						
Pegunigalsidase alfa	27	13 (48,1)	1,08 [0,47; 2,48]	1,16 [0,25; 5,29]	0,04 [-0,34; 0,41]	1,0000
Agalsidase beta	9	4 (44,4)				
60 < und ≤ 90						
Pegunigalsidase alfa	10	2 (20,0)	1,60 [0,17; 14,63]	1,75 [0,13; 23,70]	0,07 [-0,26; 0,41]	1,0000
Agalsidase beta	8	1 (12,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.16.4 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,3433						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	29	15 (51,7)	1,97 [0,86; 4,51]	3,00 [0,86; 10,52]	0,25 [-0,01; 0,52]	0,1340
Agalsidase beta	19	5 (26,3)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	16	4 (25,0)	0,75 [0,12; 4,59]	0,67 [0,05; 9,47]	-0,08 [-0,66; 0,49]	1,0000
Agalsidase beta	3	1 (33,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.16.5 Klassifizierung des Morbus Fabry

Responderanalyse für Verbesserung in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,4467						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	22	9 (40,9)	2,25 [0,58; 8,68]	3,12 [0,54; 17,97]	0,23 [-0,08; 0,53]	0,2585
Agalsidase beta	11	2 (18,2)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	23	10 (43,5)	1,20 [0,48; 2,97]	1,35 [0,31; 5,91]	0,07 [-0,28; 0,42]	1,0000
Agalsidase beta	11	4 (36,4)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.16.6 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,9921						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	23	10 (43,5)	1,52 [0,43; 5,37]	1,92 [0,31; 12,05]	0,15 [-0,24; 0,54]	0,6693
Agalsidase beta	7	2 (28,6)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	22	9 (40,9)	1,53 [0,58; 4,08]	1,90 [0,46; 7,92]	0,14 [-0,16; 0,45]	0,4908
Agalsidase beta	15	4 (26,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.16.7 ADA-Status zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,4532						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	30	14 (46,7)	1,87 [0,74; 4,74]	2,62 [0,69; 10,02]	0,22 [-0,06; 0,49]	0,2099
Agalsidase beta	16	4 (25,0)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	15	5 (33,3)	1,00 [0,26; 3,81]	1,00 [0,13; 7,45]	0,00 [-0,45; 0,45]	1,0000
Agalsidase beta	6	2 (33,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.2.2.17 Responderanalyse für Verschlechterung in 'durchschnittlicher Schmerz' (Woche 104)

2.1.2.2.17.1 Geschlecht

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'durchschnittlicher Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,4747						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	22	5 (22,7)	0,53 [0,17; 1,68]	0,39 [0,06; 2,37]	-0,20 [-0,61; 0,20]	0,3568
Agalsidase beta	7	3 (42,9)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	23	7 (30,4)	0,91 [0,35; 2,35]	0,88 [0,22; 3,52]	-0,03 [-0,33; 0,27]	1,0000
Agalsidase beta	15	5 (33,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.17.2 Region

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'durchschnittlicher Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,2192						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	17	4 (23,5)	3,50 [0,22; 56,88]	4,33 [0,20; 93,15]	0,24 [0,03; 0,44]	0,5392
Agalsidase beta	6	0 (0,0)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	28	8 (28,6)	0,57 [0,27; 1,23]	0,40 [0,11; 1,44]	-0,21 [-0,51; 0,08]	0,2002
Agalsidase beta	16	8 (50,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.17.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'durchschnittlicher Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,7331						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ 60						
Pegunigalsidase alfa	8	1 (12,5)	0,62 [0,05; 7,90]	0,57 [0,03; 11,85]	-0,07 [-0,49; 0,34]	1,0000
Agalsidase beta	5	1 (20,0)				
> 90						
Pegunigalsidase alfa	27	7 (25,9)	0,58 [0,22; 1,54]	0,44 [0,09; 2,11]	-0,19 [-0,55; 0,18]	0,4088
Agalsidase beta	9	4 (44,4)				
60 < und ≤ 90						
Pegunigalsidase alfa	10	4 (40,0)	1,07 [0,33; 3,45]	1,11 [0,16; 7,51]	0,03 [-0,43; 0,48]	1,0000
Agalsidase beta	8	3 (37,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.17.4 Klassifizierung des Morbus Fabry

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'durchschnittlicher Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,6145						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	22	7 (31,8)	0,88 [0,32; 2,36]	0,82 [0,18; 3,74]	-0,05 [-0,39; 0,30]	1,0000
Agalsidase beta	11	4 (36,4)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	23	5 (21,7)	0,60 [0,20; 1,80]	0,49 [0,10; 2,36]	-0,15 [-0,48; 0,18]	0,4254
Agalsidase beta	11	4 (36,4)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.17.5 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'durchschnittlicher Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,9580						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	23	5 (21,7)	0,76 [0,19; 3,10]	0,69 [0,10; 4,72]	-0,07 [-0,44; 0,31]	1,0000
Agalsidase beta	7	2 (28,6)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	22	7 (31,8)	0,80 [0,33; 1,90]	0,70 [0,18; 2,75]	-0,08 [-0,40; 0,23]	0,7304
Agalsidase beta	15	6 (40,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.17.6 ADA-Status zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'durchschnittlicher Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,7608						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	30	6 (20,0)	0,64 [0,23; 1,77]	0,55 [0,14; 2,20]	-0,11 [-0,38; 0,16]	0,4766
Agalsidase beta	16	5 (31,2)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	15	6 (40,0)	0,80 [0,29; 2,20]	0,67 [0,10; 4,48]	-0,10 [-0,57; 0,37]	1,0000
Agalsidase beta	6	3 (50,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.18 Responderanalyse für Verschlechterung in 'stärkster Schmerz' (Woche 104)

2.1.2.2.18.1 Geschlecht

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'stärkster Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,2577						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	22	7 (31,8)	2,23 [0,33; 15,11]	2,80 [0,28; 27,91]	0,18 [-0,15; 0,50]	0,6349
Agalsidase beta	7	1 (14,3)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	23	6 (26,1)	0,65 [0,26; 1,65]	0,53 [0,13; 2,13]	-0,14 [-0,45; 0,17]	0,4809
Agalsidase beta	15	6 (40,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.18.2 Region

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'stärkster Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,6493						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	17	4 (23,5)	1,41 [0,19; 10,26]	1,54 [0,14; 17,33]	0,07 [-0,29; 0,43]	1,0000
Agalsidase beta	6	1 (16,7)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	28	9 (32,1)	0,86 [0,37; 1,97]	0,79 [0,22; 2,86]	-0,05 [-0,35; 0,24]	0,7507
Agalsidase beta	16	6 (37,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.18.3 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'stärkster Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,5303						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	29	10 (34,5)	1,09 [0,48; 2,51]	1,14 [0,33; 3,92]	0,03 [-0,24; 0,30]	1,0000
Agalsidase beta	19	6 (31,6)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	16	3 (18,8)	0,56 [0,08; 3,75]	0,46 [0,03; 6,93]	-0,15 [-0,71; 0,42]	0,5304
Agalsidase beta	3	1 (33,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.18.4 Klassifizierung des Morbus Fabry

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'stärkster Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,6144						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	22	6 (27,3)	0,75 [0,27; 2,12]	0,66 [0,14; 3,08]	-0,09 [-0,43; 0,25]	0,6960
Agalsidase beta	11	4 (36,4)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	23	7 (30,4)	1,12 [0,35; 3,51]	1,17 [0,24; 5,76]	0,03 [-0,29; 0,36]	1,0000
Agalsidase beta	11	3 (27,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.18.5 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'stärkster Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,4438						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	23	6 (26,1)	1,83 [0,26; 12,71]	2,12 [0,21; 21,39]	0,12 [-0,20; 0,43]	1,0000
Agalsidase beta	7	1 (14,3)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	22	7 (31,8)	0,80 [0,33; 1,90]	0,70 [0,18; 2,75]	-0,08 [-0,40; 0,23]	0,7304
Agalsidase beta	15	6 (40,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.18.6 ADA-Status zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'stärkster Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,3375						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	30	8 (26,7)	0,71 [0,30; 1,69]	0,61 [0,17; 2,21]	-0,11 [-0,39; 0,18]	0,5115
Agalsidase beta	16	6 (37,5)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	15	5 (33,3)	2,00 [0,29; 13,74]	2,50 [0,23; 27,57]	0,17 [-0,22; 0,55]	0,6227
Agalsidase beta	6	1 (16,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.19 Responderanalyse für Verschlechterung in 'geringster Schmerz' (Woche 104)

2.1.2.2.19.1 Region

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'geringster Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,2800						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	17	6 (35,3)	5,06 [0,33; 78,35]	7,35 [0,35; 152,53]	0,35 [0,13; 0,58]	0,1438
Agalsidase beta	6	0 (0,0)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	28	7 (25,0)	1,00 [0,35; 2,90]	1,00 [0,24; 4,13]	0,00 [-0,27; 0,27]	1,0000
Agalsidase beta	16	4 (25,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.19.2 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'geringster Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,9970						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	29	10 (34,5)	1,64 [0,60; 4,47]	1,97 [0,52; 7,56]	0,13 [-0,12; 0,39]	0,3541
Agalsidase beta	19	4 (21,1)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	16	3 (18,8)	1,65 [0,10; 25,91]	1,81 [0,07; 43,99]	0,19 [0,00; 0,38]	1,0000
Agalsidase beta	3	0 (0,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.19.3 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'geringster Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,2923						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	23	7 (30,4)	5,00 [0,32; 78,10]	6,82 [0,34; 135,58]	0,30 [0,12; 0,49]	0,1536
Agalsidase beta	7	0 (0,0)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	22	6 (27,3)	1,02 [0,35; 3,02]	1,03 [0,23; 4,53]	0,01 [-0,28; 0,30]	1,0000
Agalsidase beta	15	4 (26,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.19.4 ADA-Status zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'geringster Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,4477						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	30	8 (26,7)	2,13 [0,51; 8,88]	2,55 [0,47; 13,77]	0,14 [-0,08; 0,37]	0,4552
Agalsidase beta	16	2 (12,5)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	15	5 (33,3)	1,00 [0,26; 3,81]	1,00 [0,13; 7,45]	0,00 [-0,45; 0,45]	1,0000
Agalsidase beta	6	2 (33,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.20 Responderanalyse für Verschlechterung in 'momentaner Schmerz' (Woche 104)

2.1.2.2.20.1 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'momentaner Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,7768						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	29	7 (24,1)	0,76 [0,30; 1,93]	0,69 [0,19; 2,50]	-0,07 [-0,34; 0,19]	0,7413
Agalsidase beta	19	6 (31,6)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	16	2 (12,5)	1,18 [0,07; 20,02]	1,21 [0,05; 31,22]	0,12 [-0,04; 0,29]	1,0000
Agalsidase beta	3	0 (0,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.20.2 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'momentaner Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,2736						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	23	4 (17,4)	3,00 [0,18; 49,83]	3,46 [0,17; 72,41]	0,17 [0,02; 0,33]	0,5476
Agalsidase beta	7	0 (0,0)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	22	5 (22,7)	0,57 [0,21; 1,53]	0,44 [0,10; 1,85]	-0,17 [-0,48; 0,13]	0,2955
Agalsidase beta	15	6 (40,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.21 Responderanalyse für Verschlechterung in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz' (Woche 104)

2.1.2.2.21.1 Geschlecht

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,4832						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	22	7 (31,8)	2,23 [0,33; 15,11]	2,80 [0,28; 27,91]	0,18 [-0,15; 0,50]	0,6349
Agalsidase beta	7	1 (14,3)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	23	8 (34,8)	1,04 [0,42; 2,59]	1,07 [0,27; 4,22]	0,01 [-0,29; 0,32]	1,0000
Agalsidase beta	15	5 (33,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.21.2 Region

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,3058						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	17	5 (29,4)	4,28 [0,27; 67,61]	5,72 [0,27; 120,33]	0,29 [0,08; 0,51]	0,2725
Agalsidase beta	6	0 (0,0)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	28	10 (35,7)	0,95 [0,43; 2,13]	0,93 [0,26; 3,31]	-0,02 [-0,31; 0,28]	1,0000
Agalsidase beta	16	6 (37,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.21.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,7369						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ 60						
Pegunigalsidase alfa	8	2 (25,0)	3,33 [0,19; 57,93]	4,23 [0,17; 108,22]	0,25 [-0,05; 0,55]	0,4872
Agalsidase beta	5	0 (0,0)				
> 90						
Pegunigalsidase alfa	27	9 (33,3)	1,00 [0,34; 2,91]	1,00 [0,20; 4,95]	0,00 [-0,36; 0,36]	1,0000
Agalsidase beta	9	3 (33,3)				
60 < und ≤ 90						
Pegunigalsidase alfa	10	4 (40,0)	1,07 [0,33; 3,45]	1,11 [0,16; 7,51]	0,03 [-0,43; 0,48]	1,0000
Agalsidase beta	8	3 (37,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.21.4 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,3343						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	29	12 (41,4)	1,57 [0,66; 3,75]	1,98 [0,56; 6,97]	0,15 [-0,12; 0,42]	0,3627
Agalsidase beta	19	5 (26,3)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	16	3 (18,8)	0,56 [0,08; 3,75]	0,46 [0,03; 6,93]	-0,15 [-0,71; 0,42]	0,5304
Agalsidase beta	3	1 (33,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,3343						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.21.5 Klassifizierung des Morbus Fabry

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,1908						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	22	8 (36,4)	0,80 [0,34; 1,87]	0,69 [0,16; 2,98]	-0,09 [-0,45; 0,27]	0,7136
Agalsidase beta	11	5 (45,5)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	23	7 (30,4)	3,35 [0,47; 23,96]	4,38 [0,47; 41,07]	0,21 [-0,04; 0,47]	0,2275
Agalsidase beta	11	1 (9,1)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.21.6 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,2446						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	23	7 (30,4)	5,00 [0,32; 78,10]	6,82 [0,34; 135,58]	0,30 [0,12; 0,49]	0,1536
Agalsidase beta	7	0 (0,0)				
Ja						

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,2446						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	22	8 (36,4)	0,91 [0,40; 2,09]	0,86 [0,22; 3,31]	-0,04 [-0,36; 0,28]	1,0000
Agalsidase beta	15	6 (40,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.1.7 ADA-Status zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,5883						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	30	8 (26,7)	1,42 [0,44; 4,63]	1,58 [0,35; 7,02]	0,08 [-0,17; 0,33]	0,7223
Agalsidase beta	16	3 (18,8)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	15	7 (46,7)	0,93 [0,36; 2,45]	0,88 [0,13; 5,82]	-0,03 [-0,51; 0,44]	1,0000
Agalsidase beta	6	3 (50,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.22 Responderanalyse für Verschlechterung in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz' (Woche 104)

2.1.2.2.22.1 Geschlecht

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,8730						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	22	5 (22,7)	0,80 [0,20; 3,23]	0,74 [0,11; 5,01]	-0,06 [-0,44; 0,32]	1,0000
Agalsidase beta	7	2 (28,6)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	23	7 (30,4)	0,91 [0,35; 2,35]	0,88 [0,22; 3,52]	-0,03 [-0,33; 0,27]	1,0000
Agalsidase beta	15	5 (33,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.22.2 Region

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,1306						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	17	7 (41,2)	2,47 [0,38; 16,15]	3,50 [0,33; 36,86]	0,25 [-0,13; 0,62]	0,3690
Agalsidase beta	6	1 (16,7)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	28	5 (17,9)	0,48 [0,17; 1,31]	0,36 [0,09; 1,47]	-0,20 [-0,47; 0,08]	0,1694
Agalsidase beta	16	6 (37,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.22.3 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,5994						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	29	9 (31,0)	0,98 [0,42; 2,31]	0,98 [0,28; 3,39]	-0,01 [-0,27; 0,26]	1,0000
Agalsidase beta	19	6 (31,6)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	16	3 (18,8)	0,56 [0,08; 3,75]	0,46 [0,03; 6,93]	-0,15 [-0,71; 0,42]	0,5304
Agalsidase beta	3	1 (33,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.22.4 Klassifizierung des Morbus Fabry

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,5423						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	22	7 (31,8)	0,70 [0,29; 1,71]	0,56 [0,13; 2,48]	-0,14 [-0,49; 0,22]	0,4713
Agalsidase beta	11	5 (45,5)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	23	5 (21,7)	1,20 [0,27; 5,22]	1,25 [0,20; 7,75]	0,04 [-0,25; 0,32]	1,0000
Agalsidase beta	11	2 (18,2)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.22.5 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,5556						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	23	5 (21,7)	1,52 [0,21; 10,95]	1,67 [0,16; 17,26]	0,07 [-0,23; 0,38]	1,0000
Agalsidase beta	7	1 (14,3)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	22	7 (31,8)	0,80 [0,33; 1,90]	0,70 [0,18; 2,75]	-0,08 [-0,40; 0,23]	0,7304
Agalsidase beta	15	6 (40,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.22.6 ADA-Status zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,4538						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	30	6 (20,0)	0,64 [0,23; 1,77]	0,55 [0,14; 2,20]	-0,11 [-0,38; 0,16]	0,4766
Agalsidase beta	16	5 (31,2)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	15	6 (40,0)	1,20 [0,33; 4,36]	1,33 [0,18; 9,72]	0,07 [-0,38; 0,52]	1,0000
Agalsidase beta	6	2 (33,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.23 Responderanalyse für Verschlechterung in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz' (Woche 104)

2.1.2.2.23.1 Region

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,6141						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	17	4 (23,5)	1,41 [0,19; 10,26]	1,54 [0,14; 17,33]	0,07 [-0,29; 0,43]	1,0000
Agalsidase beta	6	1 (16,7)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	28	7 (25,0)	0,80 [0,30; 2,11]	0,73 [0,19; 2,86]	-0,06 [-0,34; 0,22]	0,7318
Agalsidase beta	16	5 (31,2)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.23.2 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,8485						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	29	7 (24,1)	0,92 [0,34; 2,47]	0,89 [0,24; 3,36]	-0,02 [-0,27; 0,23]	1,0000
Agalsidase beta	19	5 (26,3)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	16	4 (25,0)	0,75 [0,12; 4,59]	0,67 [0,05; 9,47]	-0,08 [-0,66; 0,49]	1,0000
Agalsidase beta	3	1 (33,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.23.3 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,5816						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	23	5 (21,7)	1,52 [0,21; 10,95]	1,67 [0,16; 17,26]	0,07 [-0,23; 0,38]	1,0000
Agalsidase beta	7	1 (14,3)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	22	6 (27,3)	0,82 [0,30; 2,20]	0,75 [0,18; 3,12]	-0,06 [-0,36; 0,24]	0,7277
Agalsidase beta	15	5 (33,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.23.4 ADA-Status zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,8643						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	30	7 (23,3)	0,93 [0,32; 2,72]	0,91 [0,22; 3,75]	-0,02 [-0,28; 0,24]	1,0000
Agalsidase beta	16	4 (25,0)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	15	4 (26,7)	0,80 [0,20; 3,27]	0,73 [0,09; 5,63]	-0,07 [-0,51; 0,37]	1,0000
Agalsidase beta	6	2 (33,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.24 Responderanalyse für Verschlechterung in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz' (Woche 104)

2.1.2.2.24.1 Region

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,7111						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	17	3 (17,6)	1,06 [0,13; 8,33]	1,07 [0,09; 12,83]	0,01 [-0,34; 0,36]	1,0000
Agalsidase beta	6	1 (16,7)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	28	6 (21,4)	0,69 [0,25; 1,89]	0,60 [0,15; 2,41]	-0,10 [-0,37; 0,18]	0,4921
Agalsidase beta	16	5 (31,2)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.24.2 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,5364						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	29	6 (20,7)	0,66 [0,25; 1,73]	0,57 [0,15; 2,12]	-0,11 [-0,36; 0,15]	0,5007
Agalsidase beta	19	6 (31,6)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	16	3 (18,8)	1,65 [0,10; 25,91]	1,81 [0,07; 43,99]	0,19 [0,00; 0,38]	1,0000
Agalsidase beta	3	0 (0,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.24.3 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,9262						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	23	3 (13,0)	0,91 [0,11; 7,45]	0,90 [0,08; 10,33]	-0,01 [-0,31; 0,28]	1,0000
Agalsidase beta	7	1 (14,3)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	22	6 (27,3)	0,82 [0,30; 2,20]	0,75 [0,18; 3,12]	-0,06 [-0,36; 0,24]	0,7277
Agalsidase beta	15	5 (33,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.24.4 ADA-Status zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,5913						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	30	6 (20,0)	0,64 [0,23; 1,77]	0,55 [0,14; 2,20]	-0,11 [-0,38; 0,16]	0,4766
Agalsidase beta	16	5 (31,2)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	15	3 (20,0)	1,20 [0,15; 9,37]	1,25 [0,10; 15,11]	0,03 [-0,33; 0,39]	1,0000
Agalsidase beta	6	1 (16,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.25 Responderanalyse für Verschlechterung in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz' (Woche 104)

2.1.2.2.25.1 Geschlecht

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,2479						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	22	7 (31,8)	2,23 [0,33; 15,11]	2,80 [0,28; 27,91]	0,18 [-0,15; 0,50]	0,6349
Agalsidase beta	7	1 (14,3)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	23	7 (30,4)	0,65 [0,29; 1,48]	0,50 [0,13; 1,93]	-0,16 [-0,48; 0,15]	0,4924
Agalsidase beta	15	7 (46,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.25.2 Region

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,4366						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	17	7 (41,2)	1,24 [0,35; 4,38]	1,40 [0,20; 9,87]	0,08 [-0,37; 0,52]	1,0000
Agalsidase beta	6	2 (33,3)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	28	7 (25,0)	0,67 [0,27; 1,64]	0,56 [0,15; 2,09]	-0,12 [-0,41; 0,16]	0,4964
Agalsidase beta	16	6 (37,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.25.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,4787						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ 60						
Pegunigalsidase alfa	8	3 (37,5)	4,67 [0,29; 75,02]	7,00 [0,29; 170,05]	0,38 [0,04; 0,71]	0,2308
Agalsidase beta	5	0 (0,0)				
> 90						
Pegunigalsidase alfa	27	5 (18,5)	0,83 [0,19; 3,57]	0,80 [0,13; 5,05]	-0,04 [-0,35; 0,27]	1,0000
Agalsidase beta	9	2 (22,2)				
60 < und ≤ 90						
Pegunigalsidase alfa	10	6 (60,0)	0,80 [0,42; 1,52]	0,50 [0,07; 3,85]	-0,15 [-0,58; 0,28]	0,6380
Agalsidase beta	8	6 (75,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.25.4 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,6775						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	29	11 (37,9)	0,90 [0,45; 1,82]	0,84 [0,26; 2,73]	-0,04 [-0,33; 0,24]	1,0000
Agalsidase beta	19	8 (42,1)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	16	3 (18,8)	1,65 [0,10; 25,91]	1,81 [0,07; 43,99]	0,19 [0,00; 0,38]	1,0000
Agalsidase beta	3	0 (0,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,6775						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.25.5 Klassifizierung des Morbus Fabry

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,1056						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	22	6 (27,3)	0,50 [0,21; 1,19]	0,31 [0,07; 1,42]	-0,27 [-0,62; 0,08]	0,1490
Agalsidase beta	11	6 (54,5)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	23	8 (34,8)	1,91 [0,48; 7,55]	2,40 [0,41; 13,90]	0,17 [-0,13; 0,47]	0,4375
Agalsidase beta	11	2 (18,2)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.25.6 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,1445						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	23	7 (30,4)	5,00 [0,32; 78,10]	6,82 [0,34; 135,58]	0,30 [0,12; 0,49]	0,1536
Agalsidase beta	7	0 (0,0)				
Ja						

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,1445						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	22	7 (31,8)	0,60 [0,28; 1,29]	0,41 [0,11; 1,58]	-0,22 [-0,53; 0,10]	0,3070
Agalsidase beta	15	8 (53,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.25.7 ADA-Status zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,5095						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	30	8 (26,7)	0,71 [0,30; 1,69]	0,61 [0,17; 2,21]	-0,11 [-0,39; 0,18]	0,5115
Agalsidase beta	16	6 (37,5)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	15	6 (40,0)	1,20 [0,33; 4,36]	1,33 [0,18; 9,72]	0,07 [-0,38; 0,52]	1,0000
Agalsidase beta	6	2 (33,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.26 Responderanalyse für Verschlechterung in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz' (Woche 104)

2.1.2.2.26.1 Geschlecht

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,6719						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	22	5 (22,7)	1,59 [0,22; 11,42]	1,76 [0,17; 18,32]	0,08 [-0,23; 0,40]	1,0000
Agalsidase beta	7	1 (14,3)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	23	6 (26,1)	0,98 [0,33; 2,90]	0,97 [0,22; 4,24]	-0,01 [-0,29; 0,28]	1,0000
Agalsidase beta	15	4 (26,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.26.2 Region

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,2225						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	17	5 (29,4)	4,28 [0,27; 67,61]	5,72 [0,27; 120,33]	0,29 [0,08; 0,51]	0,2725
Agalsidase beta	6	0 (0,0)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	28	6 (21,4)	0,69 [0,25; 1,89]	0,60 [0,15; 2,41]	-0,10 [-0,37; 0,18]	0,4921
Agalsidase beta	16	5 (31,2)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.26.3 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,5700						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	29	7 (24,1)	0,92 [0,34; 2,47]	0,89 [0,24; 3,36]	-0,02 [-0,27; 0,23]	1,0000
Agalsidase beta	19	5 (26,3)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	16	4 (25,0)	2,12 [0,14; 31,86]	2,52 [0,11; 58,98]	0,25 [0,04; 0,46]	1,0000
Agalsidase beta	3	0 (0,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.26.4 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,7293						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	23	5 (21,7)	1,52 [0,21; 10,95]	1,67 [0,16; 17,26]	0,07 [-0,23; 0,38]	1,0000
Agalsidase beta	7	1 (14,3)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	22	6 (27,3)	1,02 [0,35; 3,02]	1,03 [0,23; 4,53]	0,01 [-0,28; 0,30]	1,0000
Agalsidase beta	15	4 (26,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.26.5 ADA-Status zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,6409						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	30	7 (23,3)	1,24 [0,37; 4,17]	1,32 [0,29; 5,99]	0,05 [-0,20; 0,29]	1,0000
Agalsidase beta	16	3 (18,8)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	15	4 (26,7)	0,80 [0,20; 3,27]	0,73 [0,09; 5,63]	-0,07 [-0,51; 0,37]	1,0000
Agalsidase beta	6	2 (33,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.27 Responderanalyse für Verschlechterung in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz' (Woche 104)

2.1.2.2.27.1 Geschlecht

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,6469						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	22	6 (27,3)	1,91 [0,27; 13,27]	2,25 [0,22; 22,79]	0,13 [-0,19; 0,45]	0,6457
Agalsidase beta	7	1 (14,3)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	23	7 (30,4)	1,14 [0,40; 3,24]	1,20 [0,28; 5,12]	0,04 [-0,25; 0,33]	1,0000
Agalsidase beta	15	4 (26,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.27.2 Region

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,2993						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	17	5 (29,4)	4,28 [0,27; 67,61]	5,72 [0,27; 120,33]	0,29 [0,08; 0,51]	0,2725
Agalsidase beta	6	0 (0,0)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	28	8 (28,6)	0,91 [0,36; 2,33]	0,88 [0,23; 3,35]	-0,03 [-0,31; 0,26]	1,0000
Agalsidase beta	16	5 (31,2)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.27.3 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,5339						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	29	8 (27,6)	1,05 [0,40; 2,73]	1,07 [0,29; 3,94]	0,01 [-0,24; 0,27]	1,0000
Agalsidase beta	19	5 (26,3)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	16	5 (31,2)	2,59 [0,18; 37,84]	3,35 [0,15; 76,77]	0,31 [0,09; 0,54]	0,5304
Agalsidase beta	3	0 (0,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.27.4 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,3097						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	23	6 (26,1)	4,33 [0,27; 68,67]	5,57 [0,28; 112,01]	0,26 [0,08; 0,44]	0,2901
Agalsidase beta	7	0 (0,0)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	22	7 (31,8)	0,95 [0,37; 2,45]	0,93 [0,23; 3,78]	-0,02 [-0,32; 0,29]	1,0000
Agalsidase beta	15	5 (33,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.27.5 ADA-Status zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,9678						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	30	7 (23,3)	1,24 [0,37; 4,17]	1,32 [0,29; 5,99]	0,05 [-0,20; 0,29]	1,0000
Agalsidase beta	16	3 (18,8)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	15	6 (40,0)	1,20 [0,33; 4,36]	1,33 [0,18; 9,72]	0,07 [-0,38; 0,52]	1,0000
Agalsidase beta	6	2 (33,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.28 Responderanalyse für Verschlechterung in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz' (Woche 104)

2.1.2.2.28.1 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,8679						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	29	7 (24,1)	1,53 [0,45; 5,19]	1,70 [0,38; 7,59]	0,08 [-0,14; 0,31]	0,7185
Agalsidase beta	19	3 (15,8)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	16	2 (12,5)	1,18 [0,07; 20,02]	1,21 [0,05; 31,22]	0,12 [-0,04; 0,29]	1,0000
Agalsidase beta	3	0 (0,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.29 Responderanalyse für Verschlechterung in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz' (Woche 104)

2.1.2.2.29.1 Geschlecht

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,5003						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	22	7 (31,8)	1,11 [0,30; 4,17]	1,17 [0,18; 7,56]	0,03 [-0,35; 0,42]	1,0000
Agalsidase beta	7	2 (28,6)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	23	7 (30,4)	0,65 [0,29; 1,48]	0,50 [0,13; 1,93]	-0,16 [-0,48; 0,15]	0,4924
Agalsidase beta	15	7 (46,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,5003						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.29.2 Region

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,3216						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	17	7 (41,2)	1,24 [0,35; 4,38]	1,40 [0,20; 9,87]	0,08 [-0,37; 0,52]	1,0000
Agalsidase beta	6	2 (33,3)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	28	7 (25,0)	0,57 [0,24; 1,34]	0,43 [0,12; 1,58]	-0,19 [-0,48; 0,10]	0,3133
Agalsidase beta	16	7 (43,8)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.29.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,3879						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ 60						
Pegunigalsidase alfa	8	3 (37,5)	4,67 [0,29; 75,02]	7,00 [0,29; 170,05]	0,38 [0,04; 0,71]	0,2308
Agalsidase beta	5	0 (0,0)				
> 90						

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,3879						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	27	5 (18,5)	0,56 [0,16; 1,88]	0,45 [0,08; 2,47]	-0,15 [-0,49; 0,19]	0,3837
Agalsidase beta	9	3 (33,3)				
60 < und ≤ 90						
Pegunigalsidase alfa	10	6 (60,0)	0,80 [0,42; 1,52]	0,50 [0,07; 3,85]	-0,15 [-0,58; 0,28]	0,6380
Agalsidase beta	8	6 (75,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.29.4 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,3323						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	29	9 (31,0)	0,66 [0,32; 1,35]	0,50 [0,15; 1,65]	-0,16 [-0,44; 0,12]	0,3618
Agalsidase beta	19	9 (47,4)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	16	5 (31,2)	2,59 [0,18; 37,84]	3,35 [0,15; 76,77]	0,31 [0,09; 0,54]	0,5304
Agalsidase beta	3	0 (0,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.29.5 Klassifizierung des Morbus Fabry

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,1945						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	22	6 (27,3)	0,50 [0,21; 1,19]	0,31 [0,07; 1,42]	-0,27 [-0,62; 0,08]	0,1490
Agalsidase beta	11	6 (54,5)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	23	8 (34,8)	1,28 [0,42; 3,89]	1,42 [0,29; 6,91]	0,08 [-0,25; 0,40]	1,0000
Agalsidase beta	11	3 (27,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.29.6 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,2275						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	23	7 (30,4)	2,13 [0,31; 14,49]	2,62 [0,26; 26,07]	0,16 [-0,16; 0,48]	0,6378
Agalsidase beta	7	1 (14,3)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	22	7 (31,8)	0,60 [0,28; 1,29]	0,41 [0,11; 1,58]	-0,22 [-0,53; 0,10]	0,3070
Agalsidase beta	15	8 (53,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.2.2.29.7 ADA-Status zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz' (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,3840						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	30	8 (26,7)	0,61 [0,27; 1,37]	0,47 [0,13; 1,68]	-0,17 [-0,46; 0,12]	0,3254
Agalsidase beta	16	7 (43,8)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	15	6 (40,0)	1,20 [0,33; 4,36]	1,33 [0,18; 9,72]	0,07 [-0,38; 0,52]	1,0000
Agalsidase beta	6	2 (33,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.3 Morbidität: Häufigkeit der Schmerzmitteleinnahme und Anzahl der unterschiedlichen eingenommenen Schmerzmittel

2.1.3.1.1 Patienten ohne Schmerzmitteleinnahme während Studie

2.1.3.1.1.1 Geschlecht

Patienten ohne Schmerzmitteleinnahme während Studie						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,4557						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	23	4 (17,4)	1,22 [0,16; 9,19]	1,26 [0,12; 13,59]	0,03 [-0,27; 0,33]	1,0000
Agalsidase beta	7	1 (14,3)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	29	10 (34,5)	3,10 [0,77; 12,58]	4,21 [0,80; 22,09]	0,23 [0,01; 0,46]	0,0952
Agalsidase beta	18	2 (11,1)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						

Patienten ohne Schmerzmitteleinnahme während Studie						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,4557						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.3.1.1.2 Region

Patienten ohne Schmerzmitteleinnahme während Studie						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,5162						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	19	8 (42,1)	1,47 [0,41; 5,32]	1,82 [0,28; 11,86]	0,14 [-0,27; 0,54]	0,6680
Agalsidase beta	7	2 (28,6)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	33	6 (18,2)	3,27 [0,43; 25,11]	3,78 [0,42; 34,17]	0,13 [-0,04; 0,30]	0,3979
Agalsidase beta	18	1 (5,6)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.3.1.1.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Patienten ohne Schmerzmitteleinnahme während Studie						
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,8960						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤60						
Pegunigalsidase alfa	11	2 (18,2)	2,92 [0,16; 52,47]	3,42 [0,14; 83,60]	0,18 [-0,05; 0,41]	0,5147
Agalsidase beta	6	0 (0,0)				
>90						
Pegunigalsidase alfa	28	8 (28,6)	1,57 [0,39; 6,27]	1,80 [0,32; 10,23]	0,10 [-0,18; 0,39]	0,6927
Agalsidase beta	11	2 (18,2)				
60 < und ≤ 90						

Patienten ohne Schmerzmitteleinnahme während Studie						
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,8960						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	13	4 (30,8)	2,46 [0,33; 18,31]	3,11 [0,28; 34,42]	0,18 [-0,16; 0,52]	0,6065
Agalsidase beta	8	1 (12,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel; Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.3.1.1.4 Klassifizierung des Morbus Fabry

Patienten ohne Schmerzmitteleinnahme während Studie						
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,1622						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	27	10 (37,0)	5,19 [0,74; 36,51]	7,65 [0,87; 67,57]	0,30 [0,07; 0,53]	0,0636
Agalsidase beta	14	1 (7,1)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	25	4 (16,0)	0,88 [0,19; 4,11]	0,86 [0,13; 5,55]	-0,02 [-0,29; 0,25]	1,0000
Agalsidase beta	11	2 (18,2)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel; Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.3.1.1.5 UPCR-Kategorie zu Baseline

Patienten ohne Schmerzmitteleinnahme während Studie						
Subgruppe (ITT): UPCR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,8866						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ 0,5 gr/gr						
Pegunigalsidase alfa	7	2 (28,6)	2,50 [0,15; 40,67]	3,18 [0,12; 87,92]	0,29 [-0,05; 0,62]	1,0000
Agalsidase beta	3	0 (0,0)				
≥ 1 gr/gr						

Patienten ohne Schmerzmitteleinnahme während Studie						
Subgruppe (ITT): UPCR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,8866						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	9	4 (44,4)	2,70 [0,20; 37,14]	4,09 [0,15; 108,94]	0,44 [0,12; 0,77]	0,4909
Agalsidase beta	2	0 (0,0)				
0,5 < und < 1 gr/gr						
Pegunigalsidase alfa	36	8 (22,2)	1,48 [0,44; 4,96]	1,62 [0,38; 6,95]	0,07 [-0,13; 0,28]	0,7284
Agalsidase beta	20	3 (15,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.3.1.1.6 ADA-Status zu Baseline

Patienten ohne Schmerzmitteleinnahme während Studie						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,8157						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	34	8 (23,5)	2,00 [0,48; 8,41]	2,31 [0,43; 12,32]	0,12 [-0,09; 0,33]	0,4632
Agalsidase beta	17	2 (11,8)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	18	6 (33,3)	2,67 [0,38; 18,67]	3,50 [0,35; 35,37]	0,21 [-0,11; 0,52]	0,3748
Agalsidase beta	8	1 (12,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.4 Morbidität: Auftreten von Fabry Clinical Events

2.1.4.1.1 Anteil der Patient*innen mit mindestens einem FCE im Studienverlauf

Keine der Subgruppen erfüllt die Kriterien der Dossievorlage zur Darstellung der Ergebnisse.

2.1.5 Morbidität: Veränderung des Gesundheitszustandes gemessen anhand der EQ-5D-5L VAS

2.1.5.1 Veränderung der EQ-5D-5L-VAS-Scores gegenüber Baseline

2.1.5.1.1 Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS

2.1.5.1.1.1 ADA-Status zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,4487							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Negativ	Pegunigalsidase alfa	34	74,76 (21,64)	-	-	-
		Agalsidase beta	17	75,76 (14,36)			
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	18	74,22 (24,41)			
		Agalsidase beta	8	76,25 (15,98)			
Woche 104	Negativ	Pegunigalsidase alfa	31	78,16 (15,16)	2,78 (2,02) [-1,20; 6,76]	-0,96 (3,46) [-7,79; 5,86]	0,7807
		Agalsidase beta	16	79,69 (16,61)	3,75 (2,81) [-1,79; 9,29]		
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	15	71,07 (18,96)	-0,44 (3,36) [-7,14; 6,25]	4,37 (6,14) [-7,86; 16,60]	0,4785
		Agalsidase beta	6	73,33 (21,60)	-4,82 (5,13) [-15,05; 5,42]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.5.1.1.2 eGFR-Kategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,2924							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	28	78,86 (19,16)	-	-	-
		Agalsidase beta	11	74,36 (15,34)			
	≤60	Pegunigalsidase alfa	13	77,85 (12,02)			
		Agalsidase beta	8	71,25 (15,29)			
	>90	Pegunigalsidase alfa	11	59,82 (33,01)			
		Agalsidase beta	6	85,00 (8,94)			
Woche 104	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	27	79,33 (14,33)	1,11 (1,85) [-2,55; 4,77]	-1,07 (3,62) [-8,24; 6,11]	0,7687
		Agalsidase beta	9	79,67 (14,57)	2,18 (3,11) [-3,99; 8,34]		
	≤60	Pegunigalsidase alfa	11	73,82 (13,83)	-3,80 (4,77) [-13,35; 5,76]	-1,99 (7,45) [-16,93; 12,94]	0,7900
		Agalsidase beta	8	70,88 (22,84)	-1,80 (5,67) [-13,17; 9,56]		
	>90	Pegunigalsidase alfa	8	66,88 (24,40)	9,33 (4,12) [1,01; 17,65]	10,80 (6,98) [-3,28; 24,89]	0,1292
		Agalsidase beta	5	86,20 (11,50)	-1,47 (5,46) [-12,49; 9,55]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.5.1.1.3 Klassifizierung des Morbus Fabry

Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,3318							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	27	77,37 (20,97)	-	-	-
		Agalsidase beta	14	75,57 (15,52)			
	Nicht- klassisch	Pegunigalsidase alfa	25	71,56 (23,91)			
		Agalsidase beta	11	76,36 (13,98)			
Woche 104	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	23	74,70 (18,48)	-0,92 (2,14) [-5,15; 3,30]	-3,00 (3,66) [-10,25; 4,25]	0,4147
		Agalsidase beta	11	79,45 (19,40)	2,08 (2,98) [-3,81; 7,97]		
	Nicht- klassisch	Pegunigalsidase alfa	23	77,00 (14,87)	4,36 (2,62) [-0,83; 9,55]	2,74 (4,64) [-6,45; 11,93]	0,5562
		Agalsidase beta	11	76,45 (16,83)	1,62 (3,82) [-5,94; 9,19]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.5.1.1.4 Region

Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,1553							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Europa	Pegunigalsidase alfa	19	63,95 (26,91)	-	-	-
		Agalsidase beta	7	75,00 (18,71)			

Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,1553							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	USA	Pegunigalsidase alfa	33	80,70 (16,93)			
		Agalsidase beta	18	76,28 (13,24)			
Woche 104	Europa	Pegunigalsidase alfa	18	68,61 (19,65)	4,32 (2,83) [-1,32; 9,97]	7,96 (5,57) [-3,14; 19,06]	0,1572
		Agalsidase beta	6	69,17 (22,89)	-3,64 (4,77) [-13,15; 5,88]		
	USA	Pegunigalsidase alfa	28	80,50 (12,66)	0,92 (2,14) [-3,31; 5,14]	-1,43 (3,56) [-8,47; 5,60]	
		Agalsidase beta	16	81,25 (15,03)	2,35 (2,84) [-3,26; 7,96]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.5.1.1.5 Geschlecht

Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,7326							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Männlich	Pegunigalsidase alfa	29	75,55 (21,74)	-	-	-
		Agalsidase beta	18	76,00 (14,28)			
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	23	73,35 (23,63)			
		Agalsidase beta	7	75,71 (16,44)			

Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,7326							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Woche 104	Männlich	Pegunigalsidase alfa	24	74,92 (18,11)	0,26 (2,53) [-4,75; 5,26]	0,41 (4,07) [-7,63; 8,44]	0,9208
		Agalsidase beta	15	76,93 (18,85)	-0,15 (3,18) [-6,44; 6,14]		
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	22	76,86 (15,20)	3,34 (2,32) [-1,27; 7,95]	-1,72 (4,72) [-11,11; 7,66]	
		Agalsidase beta	7	80,14 (16,44)	5,06 (4,11) [-3,10; 13,23]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.5.1.1.6 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,4279							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Ja	Pegunigalsidase alfa	26	75,38 (20,49)	-	-	-
		Agalsidase beta	16	74,88 (14,57)			
	Nein	Pegunigalsidase alfa	26	73,77 (24,54)			
		Agalsidase beta	9	77,78 (15,23)			
Woche 104	Ja	Pegunigalsidase alfa	23	73,87 (14,25)	-0,87 (2,78) [-6,36; 4,62]	0,10 (4,43) [-8,66; 8,86]	0,9813

Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,4279							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	15	74,27 (19,68)	-0,97 (3,45) [-7,80; 5,85]		
	Nein	Pegunigalsidase alfa	23	77,83 (18,82)	3,80 (1,65) [0,52; 7,08]	-4,31 (3,38) [-11,02; 2,39]	0,2049
		Agalsidase beta	7	85,86 (9,84)	8,11 (2,94) [2,28; 13,95]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.5.1.1.7 UPCR-Kategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS							
Subgruppe (ITT): UPCR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,1528							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	0,5 < und < 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	9	80,22 (14,76)	-	-	-
		Agalsidase beta	2	89,00 (15,56)			
	≤ 0,5 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	36	73,64 (25,04)			
		Agalsidase beta	20	77,00 (12,71)			
	≥ 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	7	72,14 (16,04)			
		Agalsidase beta	3	60,00 (18,03)			
Woche 104	0,5 < und < 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	8	80,62 (10,16)	-0,63 (2,46) [-5,82; 4,55]	-7,78 (5,56) [-19,50; 3,94]	0,1793

Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS							
Subgruppe (ITT): UPCR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,1528							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	2	93,50 (9,19)	7,15 (4,94) [-3,27; 17,57]		
	≤ 0,5 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	32	75,53 (18,38)	2,39 (2,12) [-1,79; 6,57]	3,42 (3,57) [-3,62; 10,45]	0,3394
		Agalsidase beta	17	76,65 (15,96)	-1,02 (2,86) [-6,67; 4,62]		
	≥ 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	6	71,17 (13,64)	-0,87 (6,78) [-15,07; 13,33]	-11,47 (12,01) [-36,61; 13,66]	0,3515
		Agalsidase beta	3	75,00 (31,22)	10,60 (9,84) [-10,00; 31,20]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.5.2 Responderanalysen für den EQ-5D-5L-VAS-Score

2.1.5.2.1 Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS (MID = 7 Punkte) (Woche 104)

2.1.5.2.1.1 Geschlecht

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS (MID = 7 Punkte) (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,3344						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	22	7 (31,8)	0,56 [0,23; 1,35]	0,35 [0,06; 2,00]	-0,25 [-0,67; 0,16]	0,3746
Agalsidase beta	7	4 (57,1)				

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS (MID = 7 Punkte) (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,3344						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	24	7 (29,2)	1,09 [0,38; 3,11]	1,13 [0,27; 4,80]	0,03 [-0,26; 0,31]	1,0000
Agalsidase beta	15	4 (26,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.5.2.1.2 Region

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS (MID = 7 Punkte) (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,0610						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	18	9 (50,0)	3,00 [0,47; 19,04]	5,00 [0,48; 51,77]	0,33 [-0,04; 0,71]	0,3408
Agalsidase beta	6	1 (16,7)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	28	5 (17,9)	0,41 [0,15; 1,08]	0,28 [0,07; 1,11]	-0,26 [-0,54; 0,02]	0,0855
Agalsidase beta	16	7 (43,8)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.5.2.1.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS (MID = 7 Punkte) (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,2355						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤60						

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS (MID = 7 Punkte) (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,2355						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	8	5 (62,5)	3,12 [0,50; 19,55]	6,67 [0,49; 91,33]	0,42 [-0,06; 0,91]	0,2657
Agalsidase beta	5	1 (20,0)				
>90						
Pegunigalsidase alfa	27	7 (25,9)	0,58 [0,22; 1,54]	0,44 [0,09; 2,11]	-0,19 [-0,55; 0,18]	0,4088
Agalsidase beta	9	4 (44,4)				
60 < und ≤ 90						
Pegunigalsidase alfa	11	2 (18,2)	0,48 [0,10; 2,26]	0,37 [0,05; 3,01]	-0,19 [-0,60; 0,21]	0,6027
Agalsidase beta	8	3 (37,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.5.2.1.4 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS (MID = 7 Punkte) (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,3645						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	30	9 (30,0)	0,71 [0,33; 1,52]	0,59 [0,18; 1,96]	-0,12 [-0,40; 0,15]	0,539
Agalsidase beta	19	8 (42,1)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	16	5 (31,2)	2,59 [0,18; 37,84]	3,35 [0,15; 76,77]	0,31 [0,09; 0,54]	0,5304
Agalsidase beta	3	0 (0,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.5.2.1.5 Klassifizierung des Morbus Fabry

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS (MID = 7 Punkte) (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,7648						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	23	6 (26,1)	0,96 [0,29; 3,13]	0,94 [0,19; 4,76]	-0,01 [-0,33; 0,31]	1,0000
Agalsidase beta	11	3 (27,3)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	23	8 (34,8)	0,77 [0,33; 1,80]	0,64 [0,15; 2,77]	-0,11 [-0,46; 0,25]	0,7094
Agalsidase beta	11	5 (45,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.5.2.1.6 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS (MID = 7 Punkte) (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,5002						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	23	8 (34,8)	0,61 [0,26; 1,43]	0,40 [0,07; 2,25]	-0,22 [-0,64; 0,19]	0,3915
Agalsidase beta	7	4 (57,1)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	23	6 (26,1)	0,98 [0,33; 2,90]	0,97 [0,22; 4,24]	-0,01 [-0,29; 0,28]	1,0000
Agalsidase beta	15	4 (26,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.5.2.1.7 ADA-Status zu Baseline

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS (MID = 7 Punkte) (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,2985						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	31	9 (29,0)	0,66 [0,30; 1,45]	0,53 [0,15; 1,85]	-0,15 [-0,44; 0,14]	0,3468
Agalsidase beta	16	7 (43,8)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	15	5 (33,3)	2,00 [0,29; 13,74]	2,50 [0,23; 27,57]	0,17 [-0,22; 0,55]	0,6227
Agalsidase beta	6	1 (16,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.5.2.2 Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS (MID = 10 Punkte) (Woche 104)

2.1.5.2.2.1 Geschlecht

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS (MID = 10 Punkte) (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,1115						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	22	7 (31,8)	0,56 [0,23; 1,35]	0,35 [0,06; 2,00]	-0,25 [-0,67; 0,16]	0,3746
Agalsidase beta	7	4 (57,1)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	24	7 (29,2)	2,19 [0,52; 9,17]	2,68 [0,47; 15,09]	0,16 [-0,09; 0,41]	0,4372
Agalsidase beta	15	2 (13,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.5.2.2.2 Region

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS (MID = 10 Punkte) (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,1286						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	18	9 (50,0)	3,00 [0,47; 19,04]	5,00 [0,48; 51,77]	0,33 [-0,04; 0,71]	0,3408
Agalsidase beta	6	1 (16,7)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	28	5 (17,9)	0,57 [0,19; 1,68]	0,48 [0,11; 2,00]	-0,13 [-0,40; 0,13]	0,4564
Agalsidase beta	16	5 (31,2)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.5.2.2.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS (MID = 10 Punkte) (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,4060						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤60						
Pegunigalsidase alfa	8	5 (62,5)	3,12 [0,50; 19,55]	6,67 [0,49; 91,33]	0,42 [-0,06; 0,91]	0,2657
Agalsidase beta	5	1 (20,0)				
>90						
Pegunigalsidase alfa	27	7 (25,9)	0,78 [0,25; 2,39]	0,70 [0,14; 3,58]	-0,07 [-0,42; 0,28]	0,6856
Agalsidase beta	9	3 (33,3)				
60 < und ≤ 90						
Pegunigalsidase alfa	11	2 (18,2)	0,73 [0,13; 4,13]	0,67 [0,07; 6,11]	-0,07 [-0,44; 0,31]	1,0000
Agalsidase beta	8	2 (25,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.5.2.2.4 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS (MID = 10 Punkte) (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,4855						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	30	9 (30,0)	0,95 [0,40; 2,24]	0,93 [0,27; 3,22]	-0,02 [-0,28; 0,25]	1,0000
Agalsidase beta	19	6 (31,6)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	16	5 (31,2)	2,59 [0,18; 37,84]	3,35 [0,15; 76,77]	0,31 [0,09; 0,54]	0,5304
Agalsidase beta	3	0 (0,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.5.2.2.5 Klassifizierung des Morbus Fabry

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS (MID = 10 Punkte) (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,2320						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	23	6 (26,1)	2,87 [0,39; 21,02]	3,53 [0,37; 33,70]	0,17 [-0,08; 0,42]	0,3844
Agalsidase beta	11	1 (9,1)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	23	8 (34,8)	0,77 [0,33; 1,80]	0,64 [0,15; 2,77]	-0,11 [-0,46; 0,25]	0,7094
Agalsidase beta	11	5 (45,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.5.2.2.6 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS (MID = 10 Punkte) (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,1762						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	23	8 (34,8)	0,61 [0,26; 1,43]	0,40 [0,07; 2,25]	-0,22 [-0,64; 0,19]	0,3915
Agalsidase beta	7	4 (57,1)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	23	6 (26,1)	1,96 [0,45; 8,44]	2,29 [0,40; 13,28]	0,13 [-0,12; 0,38]	0,4398
Agalsidase beta	15	2 (13,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.5.2.2.7 ADA-Status zu Baseline

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS (MID = 10 Punkte) (Woche 104)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,4808						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	31	9 (29,0)	0,93 [0,37; 2,31]	0,90 [0,24; 3,34]	-0,02 [-0,30; 0,26]	1,0000
Agalsidase beta	16	5 (31,2)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	15	5 (33,3)	2,00 [0,29; 13,74]	2,50 [0,23; 27,57]	0,17 [-0,22; 0,55]	0,6227
Agalsidase beta	6	1 (16,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.6 Morbidität: Veränderung der kardialen Hypertrophie gemessen anhand des LVMI**2.1.6.1.1 Veränderung gegenüber Baseline im LVMI**

2.1.6.1.1.1 ADA-Status zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im LVMI							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,2289							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Negativ	Pegunigalsidase alfa	27	67,67 (33,99)	-	-	-
		Agalsidase beta	16	77,32 (29,70)			
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	16	82,43 (25,08)			
		Agalsidase beta	7	95,39 (25,59)			
Woche 104	Negativ	Pegunigalsidase alfa	18	74,88 (33,52)	-0,30 (3,20) [-6,70; 6,09]	1,93 (4,79) [-7,65; 11,50]	0,6889
		Agalsidase beta	15	74,95 (31,49)	-2,23 (3,56) [-9,35; 4,89]		
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	10	79,09 (30,32)	-3,25 (5,33) [-14,28; 7,78]	-11,28 (9,88) [-31,72; 9,15]	0,2652
		Agalsidase beta	4	103,04 (56,14)	8,03 (8,29) [-9,12; 25,18]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.6.1.1.2 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im LVMI							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,9538							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	27	73,18 (29,89)	-	-	-
		Agalsidase beta	17	76,96 (29,15)			
	> -5	Pegunigalsidase alfa	16	73,12 (35,06)			
		Agalsidase beta	6	99,41 (24,14)			
Woche 104	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	17	76,42 (30,10)	-3,07 (3,51) [-10,10; 3,96]	-1,38 (5,11) [-11,60; 8,83]	0,7876
		Agalsidase beta	16	74,22 (30,21)	-1,69 (3,71) [-9,10; 5,73]		
	> -5	Pegunigalsidase alfa	11	76,33 (36,04)	1,39 (4,51) [-7,88; 10,65]	-2,01 (9,46) [-21,45; 17,44]	0,8338
		Agalsidase beta	3	116,31 (61,89)	3,39 (8,28) [-13,63; 20,42]		
<p><i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i></p> <p>ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures</p>							

2.1.6.1.1.3 Klassifizierung des Morbus Fabry

Veränderung gegenüber Baseline im LVMI							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,1474							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	21	81,08 (25,73)	-	-	-

Veränderung gegenüber Baseline im LVMI							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,1474							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	Nicht- klassisch	Agalsidase beta	13	90,56 (24,71)			
		Pegunigalsidase alfa	22	65,60 (35,08)			
		Agalsidase beta	10	72,75 (32,70)			
Woche 104	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	12	82,88 (29,54)	-2,38 (5,10) [-12,69; 7,92]	-8,01 (7,82) [-23,80; 7,77]	0,3114
		Agalsidase beta	9	96,18 (42,45)	5,63 (5,92) [-6,32; 17,58]		
	Nicht- klassisch	Pegunigalsidase alfa	16	71,52 (33,67)	-0,62 (2,71) [-6,07; 4,83]	4,98 (4,40) [-3,88; 13,85]	0,2632
		Agalsidase beta	10	67,08 (28,67)	-5,60 (3,47) [-12,59; 1,38]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.6.1.1.4 Region

Veränderung gegenüber Baseline im LVMI							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,3888							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Europa	Pegunigalsidase alfa	15	76,21 (34,97)	-	-	-
		Agalsidase beta	7	95,05 (29,68)			
	USA	Pegunigalsidase alfa	28	71,53 (30,02)			

Veränderung gegenüber Baseline im LVMI							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,3888							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	16	77,47 (28,23)			
Woche 104	Europa	Pegunigalsidase alfa	10	87,77 (32,76)	-0,36 (3,83) [-8,26; 7,53]	3,61 (6,63) [-10,09; 17,30]	0,5916
		Agalsidase beta	5	93,45 (31,39)	-3,97 (5,41) [-15,14; 7,20]		
	USA	Pegunigalsidase alfa	18	70,06 (30,50)	-2,21 (3,67) [-9,54; 5,12]	-3,89 (5,62) [-15,12; 7,35]	0,4919
		Agalsidase beta	14	76,37 (40,01)	1,67 (4,26) [-6,84; 10,19]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.6.1.1.5 Geschlecht

Veränderung gegenüber Baseline im LVMI							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,3194							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Männlich	Pegunigalsidase alfa	23	80,81 (25,65)	-	-	-
		Agalsidase beta	16	93,57 (26,39)			
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	20	64,37 (35,76)			
		Agalsidase beta	7	58,23 (19,24)			
Woche 104	Männlich	Pegunigalsidase alfa	13	84,03 (28,59)	-3,03 (4,71) [-12,50; 6,44]	-4,94 (6,86) [-18,73; 8,84]	0,4747

Veränderung gegenüber Baseline im LVMI							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,3194							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	12	96,27 (38,15)	1,91 (4,97) [-8,08; 11,90]		
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	15	69,76 (34,08)	-0,08 (3,04) [-6,24; 6,08]	3,77 (5,44) [-7,24; 14,79]	0,4920
		Agalsidase beta	7	54,45 (18,62)	-3,85 (4,50) [-12,96; 5,26]		
<p><i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i></p>							
<p>ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures</p>							

2.1.6.1.1.6 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im LVMI							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,9632							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Ja	Pegunigalsidase alfa	20	82,23 (31,81)	-	-	-
		Agalsidase beta	14	94,04 (27,85)			
	Nein	Pegunigalsidase alfa	23	65,27 (29,67)			
		Agalsidase beta	9	65,35 (22,80)			
Woche 104	Ja	Pegunigalsidase alfa	13	89,07 (29,23)	-0,05 (4,79) [-9,69; 9,60]	-1,48 (7,00) [-15,57; 12,61]	0,8340
		Agalsidase beta	12	94,75 (39,13)	1,43 (5,10) [-8,83; 11,68]		

Veränderung gegenüber Baseline im LVMi							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,9632							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	Nein	Pegunigalsidase alfa	15	65,39 (30,85)	-2,86 (2,99) [-8,91; 3,19]	-1,07 (5,30) [-11,79; 9,65]	0,8409
		Agalsidase beta	7	57,07 (21,26)	-1,79 (4,37) [-10,63; 7,05]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.6.1.2 Veränderung gegenüber Baseline im LVMi bei Patienten ohne Hypertrophie zu Baseline

2.1.6.1.2.1 ADA-Status zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im LVMi bei Patienten ohne Hypertrophie zu Baseline							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,3499							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Negativ	Pegunigalsidase alfa	17	53,70 (13,35)	-	-	-
		Agalsidase beta	10	60,72 (17,55)			
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	10	68,99 (14,25)			
		Agalsidase beta	3	76,24 (9,81)			
Woche 104	Negativ	Pegunigalsidase alfa	12	56,13 (17,44)	3,46 (2,74) [-2,09; 9,01]	4,44 (4,26) [-4,18; 13,06]	0,3034
		Agalsidase beta	9	57,62 (18,29)	-0,98 (3,21) [-7,49; 5,52]		
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	7	63,60 (19,22)	-5,58 (5,47) [-17,40; 6,24]	-5,73 (10,01)	0,5769

Veränderung gegenüber Baseline im LVMi bei Patienten ohne Hypertrophie zu Baseline							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,3499							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	3	74,97 (1,65)	0,15 (8,32) [-17,83; 18,13]	[-27,36; 15,90]	
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.6.1.2.2 Klassifizierung des Morbus Fabry

Veränderung gegenüber Baseline im LVMi bei Patienten ohne Hypertrophie zu Baseline							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,2436							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	14	68,16 (15,16)	-	-	-
		Agalsidase beta	6	69,73 (9,87)			
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	13	49,89 (8,71)			
		Agalsidase beta	7	59,65 (21,24)			
Woche 104	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	8	66,85 (20,03)	-2,08 (4,93) [-12,33; 8,18]	-4,67 (7,95) [-21,21; 11,87]	0,5632
		Agalsidase beta	5	71,03 (10,88)	2,60 (6,25) [-10,40; 15,59]		
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	11	53,09 (14,56)	1,91 (2,97) [-4,17; 7,98]	6,24 (4,93) [-3,83; 16,30]	0,2153
		Agalsidase beta	7	55,48 (19,07)	-4,33 (3,87) [-12,24; 3,58]		

Veränderung gegenüber Baseline im LVMi bei Patienten ohne Hypertrophie zu Baseline							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,2436							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.6.1.2.3 Geschlecht

Veränderung gegenüber Baseline im LVMi bei Patienten ohne Hypertrophie zu Baseline							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,2695							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Männlich	Pegunigalsidase alfa	15	67,17 (15,10)	-	-	-
		Agalsidase beta	8	73,86 (11,33)			
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	12	49,61 (9,04)			
		Agalsidase beta	5	49,01 (13,44)			
Woche 104	Männlich	Pegunigalsidase alfa	8	66,85 (20,03)	-1,87 (4,55) [-11,23; 7,49]	-3,35 (6,68) [-17,07; 10,38]	0,6204
		Agalsidase beta	7	73,84 (11,01)	1,48 (4,87) [-8,53; 11,48]		
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	11	53,09 (14,56)	2,44 (3,02) [-3,78; 8,67]	6,18 (5,46) [-5,06; 17,41]	0,2684
		Agalsidase beta	5	45,33 (8,11)	-3,73 (4,54) [-13,08; 5,62]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.6.1.2.4 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im LVMi bei Patienten ohne Hypertrophie zu Baseline							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,3792							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Ja	Pegunigalsidase alfa	11	64,75 (14,07)	-	-	-
		Agalsidase beta	6	72,41 (12,90)			
	Nein	Pegunigalsidase alfa	16	55,66 (15,55)			
		Agalsidase beta	7	57,36 (18,06)			
Woche 104	Ja	Pegunigalsidase alfa	7	69,68 (16,24)	7,25 (3,84) [-0,73; 15,22]	6,52 (5,75) [-5,43; 18,47]	0,2692
		Agalsidase beta	6	72,46 (11,38)	0,73 (4,15) [-7,90; 9,35]		
	Nein	Pegunigalsidase alfa	12	52,59 (16,33)	-2,27 (3,20) [-8,81; 4,26]	-0,51 (5,55) [-11,85; 10,84]	0,9280
		Agalsidase beta	6	51,46 (16,67)	-1,77 (4,54) [-11,04; 7,51]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

2.1.7 Sicherheit: Endpunkte zu unerwünschten Ereignissen

2.1.7.1 Unerwünschte Ereignisse (Gesamtraten UE, SUE, schwere UE, Therapieabbruch)

2.1.7.1.1 Patienten mit mindestens einem UE

2.1.7.1.1.1 Geschlecht

Patienten mit mindestens einem UE						
Subgruppe (Safety): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,1771						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	23	22 (95,7)	1,12 [0,81; 1,53]	3,67 [0,20; 67,65]	0,10 [-0,17; 0,37]	0,4184
Agalsidase beta	7	6 (85,7)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	29	25 (86,2)	0,87 [0,74; 1,03]	0,15 [0,01; 3,02]	-0,14 [-0,26; -0,01]	0,2830
Agalsidase beta	18	18 (100,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.7.1.1.2 Region

Patienten mit mindestens einem UE						
Subgruppe (Safety): Region, Interaktions-p-Wert: 0,0708						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	19	14 (73,7)	0,77 [0,56; 1,07]	0,18 [0,01; 3,62]	-0,26 [-0,46; -0,07]	0,2782
Agalsidase beta	7	7 (100,0)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	33	33 (100,0)	1,07 [0,93; 1,23]	5,74 [0,22; 148,47]	0,06 [-0,05; 0,16]	0,3529
Agalsidase beta	18	17 (94,4)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						

Patienten mit mindestens einem UE						
Subgruppe (Safety): Region, Interaktions-p-Wert: 0,0708						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.7.1.1.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Patienten mit mindestens einem UE						
Subgruppe (Safety): eGFR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,9896						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤60						
Pegunigalsidase alfa	11	9 (81,8)	0,98 [0,62; 1,55]	0,90 [0,06; 12,58]	-0,02 [-0,39; 0,36]	1,0000
Agalsidase beta	6	5 (83,3)				
>90						
Pegunigalsidase alfa	28	26 (92,9)	0,95 [0,81; 1,12]	0,46 [0,02; 10,38]	-0,07 [-0,17; 0,02]	1,0000
Agalsidase beta	11	11 (100,0)				
60 < und ≤ 90						
Pegunigalsidase alfa	13	12 (92,3)	0,95 [0,74; 1,20]	0,49 [0,02; 13,52]	-0,08 [-0,22; 0,07]	1,0000
Agalsidase beta	8	8 (100,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.7.1.1.4 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Patienten mit mindestens einem UE						
Subgruppe (Safety): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,9067						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	33	30 (90,9)	0,96 [0,82; 1,12]	0,56 [0,05; 5,75]	-0,04 [-0,18; 0,10]	1,0000
Agalsidase beta	19	18 (94,7)				

Patienten mit mindestens einem UE						
Subgruppe (Safety): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,9067						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
> -5						
Pegunigalsidase alfa	19	17 (89,5)	0,94 [0,72; 1,23]	0,54 [0,02; 12,78]	-0,11 [-0,24; 0,03]	1,0000
Agalsidase beta	6	6 (100,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.7.1.1.5 Klassifizierung des Morbus Fabry

Patienten mit mindestens einem UE						
Subgruppe (Safety): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,4299						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	27	24 (88,9)	0,91 [0,76; 1,07]	0,24 [0,01; 5,01]	-0,11 [-0,23; 0,01]	0,5390
Agalsidase beta	14	14 (100,0)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	25	23 (92,0)	1,01 [0,81; 1,26]	1,15 [0,09; 14,19]	0,01 [-0,19; 0,21]	1,0000
Agalsidase beta	11	10 (90,9)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.7.1.1.6 UPCR-Kategorie zu Baseline

Patienten mit mindestens einem UE						
Subgruppe (Safety): UPCR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,8672						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ 0,5 gr/gr						
Pegunigalsidase alfa	7	7 (100,0)				1,0000

Patienten mit mindestens einem UE						
Subgruppe (Safety): UPCR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,8672						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Agalsidase beta	3	3 (100,0)	1,07 [0,71; 1,62]	2,14 [0,03; 131,93]	0,00 [0,00; 0,00]	
≥ 1 gr/gr						
Pegunigalsidase alfa	9	7 (77,8)	0,90 [0,48; 1,67]	0,60 [0,02; 17,22]	-0,22 [-0,49; 0,05]	1,0000
Agalsidase beta	2	2 (100,0)				
0,5 < und < 1 gr/gr						
Pegunigalsidase alfa	36	33 (91,7)	0,96 [0,84; 1,11]	0,58 [0,06; 5,97]	-0,03 [-0,16; 0,10]	1,0000
Agalsidase beta	20	19 (95,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.7.1.1.7 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Patienten mit mindestens einem UE						
Subgruppe (Safety): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,5032						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	26	21 (80,8)	0,91 [0,67; 1,22]	0,52 [0,05; 5,22]	-0,08 [-0,34; 0,17]	1,0000
Agalsidase beta	9	8 (88,9)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	26	26 (100,0)	1,01 [0,92; 1,11]	1,61 [0,03; 84,91]	0,00 [0,00; 0,00]	1,0000
Agalsidase beta	16	16 (100,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.7.1.1.8 ADA-Status zu Baseline

Patienten mit mindestens einem UE						
Subgruppe (Safety): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,7190						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	34	31 (91,2)	0,97 [0,83; 1,13]	0,65 [0,06; 6,72]	-0,03 [-0,18; 0,12]	1,0000
Agalsidase beta	17	16 (94,1)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	18	16 (88,9)	0,92 [0,73; 1,16]	0,39 [0,02; 9,03]	-0,11 [-0,26; 0,03]	1,0000
Agalsidase beta	8	8 (100,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.7.1.2 Patienten mit mindestens einem Ereignis der Stufe 3 oder höher (CTCAE)

2.1.7.1.2.1 Geschlecht

Patienten mit mindestens einem Ereignis der Stufe 3 oder höher (CTCAE)						
Subgruppe (Safety): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,6011						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	23	3 (13,0)	2,33 [0,13; 40,46]	2,56 [0,12; 55,67]	0,13 [-0,01; 0,27]	1,0000
Agalsidase beta	7	0 (0,0)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	29	12 (41,4)	1,06 [0,52; 2,19]	1,11 [0,33; 3,69]	0,02 [-0,26; 0,31]	1,0000
Agalsidase beta	18	7 (38,9)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.7.1.2.2 Region

Patienten mit mindestens einem Ereignis der Stufe 3 oder höher (CTCAE)						
Subgruppe (Safety): Region, Interaktions-p-Wert: 0,8418						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	19	5 (26,3)	0,92 [0,23; 3,71]	0,89 [0,13; 6,16]	-0,02 [-0,41; 0,37]	1,0000
Agalsidase beta	7	2 (28,6)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	33	10 (30,3)	1,09 [0,44; 2,70]	1,13 [0,32; 4,03]	0,03 [-0,23; 0,28]	1,0000
Agalsidase beta	18	5 (27,8)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel; Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.7.1.2.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Patienten mit mindestens einem Ereignis der Stufe 3 oder höher (CTCAE)						
Subgruppe (Safety): eGFR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,8268						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤60						
Pegunigalsidase alfa	11	1 (9,1)	0,55 [0,04; 7,25]	0,50 [0,03; 9,77]	-0,08 [-0,42; 0,27]	1,0000
Agalsidase beta	6	1 (16,7)				
>90						
Pegunigalsidase alfa	28	7 (25,0)	1,38 [0,34; 5,62]	1,50 [0,26; 8,67]	0,07 [-0,21; 0,35]	1,0000
Agalsidase beta	11	2 (18,2)				
60 < und ≤ 90						
Pegunigalsidase alfa	13	7 (53,9)	1,08 [0,46; 2,54]	1,17 [0,20; 6,80]	0,04 [-0,40; 0,48]	1,0000
Agalsidase beta	8	4 (50,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel; Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.7.1.2.4 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Patienten mit mindestens einem Ereignis der Stufe 3 oder höher (CTCAE)						
Subgruppe (Safety): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,2355						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	33	12 (36,4)	1,38 [0,57; 3,32]	1,60 [0,46; 5,55]	0,10 [-0,16; 0,36]	0,5482
Agalsidase beta	19	5 (26,3)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	19	3 (15,8)	0,47 [0,10; 2,20]	0,38 [0,05; 3,06]	-0,18 [-0,59; 0,24]	0,5623
Agalsidase beta	6	2 (33,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.7.1.2.5 Klassifizierung des Morbus Fabry

Patienten mit mindestens einem Ereignis der Stufe 3 oder höher (CTCAE)						
Subgruppe (Safety): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,2832						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	27	11 (40,7)	1,43 [0,55; 3,67]	1,72 [0,43; 6,90]	0,12 [-0,18; 0,42]	0,5119
Agalsidase beta	14	4 (28,6)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	25	4 (16,0)	0,59 [0,16; 2,19]	0,51 [0,09; 2,79]	-0,11 [-0,41; 0,19]	0,6499
Agalsidase beta	11	3 (27,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.7.1.2.6 UPCR-Kategorie zu Baseline

Patienten mit mindestens einem Ereignis der Stufe 3 oder höher (CTCAE)						
Subgruppe (Safety): UPCR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,6201						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ 0,5 gr/gr						
Pegunigalsidase alfa	7	4 (57,1)	0,64 [0,31; 1,31]	0,18 [0,01; 4,86]	-0,43 [-0,80; -0,06]	0,4750
Agalsidase beta	3	3 (100,0)				
≥ 1 gr/gr						
Pegunigalsidase alfa	9	4 (44,4)	0,89 [0,19; 4,26]	0,80 [0,04; 17,20]	-0,06 [-0,82; 0,71]	1,0000
Agalsidase beta	2	1 (50,0)				
0,5 < und < 1 gr/gr						
Pegunigalsidase alfa	36	7 (19,4)	1,30 [0,38; 4,47]	1,37 [0,31; 6,00]	0,04 [-0,16; 0,25]	1,0000
Agalsidase beta	20	3 (15,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.7.1.2.7 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Patienten mit mindestens einem Ereignis der Stufe 3 oder höher (CTCAE)						
Subgruppe (Safety): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,8551						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	26	4 (15,4)	1,38 [0,18; 10,82]	1,45 [0,14; 15,04]	0,04 [-0,21; 0,29]	1,0000
Agalsidase beta	9	1 (11,1)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	26	11 (42,3)	1,13 [0,52; 2,45]	1,22 [0,34; 4,38]	0,05 [-0,26; 0,35]	1,0000
Agalsidase beta	16	6 (37,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.7.1.2.8 ADA-Status zu Baseline

Patienten mit mindestens einem Ereignis der Stufe 3 oder höher (CTCAE)						
Subgruppe (Safety): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,9019						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	34	10 (29,4)	1,00 [0,41; 2,46]	1,00 [0,28; 3,59]	0,00 [-0,27; 0,27]	1,0000
Agalsidase beta	17	5 (29,4)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	18	5 (27,8)	1,11 [0,27; 4,56]	1,15 [0,17; 7,74]	0,03 [-0,34; 0,39]	1,0000
Agalsidase beta	8	2 (25,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.7.1.3 Patienten mit mindestens einem SUE

2.1.7.1.3.1 Geschlecht

Patienten mit mindestens einem SUE						
Subgruppe (Safety): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,8448						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	23	1 (4,3)	1,00 [0,05; 22,18]	1,00 [0,04; 27,26]	0,04 [-0,04; 0,13]	1,0000
Agalsidase beta	7	0 (0,0)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	29	7 (24,1)	0,72 [0,29; 1,81]	0,64 [0,17; 2,33]	-0,09 [-0,36; 0,18]	0,5207
Agalsidase beta	18	6 (33,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.7.1.3.2 Klassifizierung des Morbus Fabry

Patienten mit mindestens einem SUE						
Subgruppe (Safety): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,2705						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	27	7 (25,9)	0,91 [0,32; 2,58]	0,88 [0,21; 3,71]	-0,03 [-0,32; 0,26]	1,0000
Agalsidase beta	14	4 (28,6)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	25	1 (4,0)	0,22 [0,02; 2,18]	0,19 [0,02; 2,33]	-0,14 [-0,38; 0,10]	0,2157
Agalsidase beta	11	2 (18,2)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.7.1.3.3 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Patienten mit mindestens einem SUE						
Subgruppe (Safety): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,9595						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	26	2 (7,7)	0,69 [0,07; 6,75]	0,67 [0,05; 8,37]	-0,03 [-0,26; 0,20]	1,0000
Agalsidase beta	9	1 (11,1)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	26	6 (23,1)	0,74 [0,27; 2,03]	0,66 [0,16; 2,67]	-0,08 [-0,36; 0,20]	0,7203
Agalsidase beta	16	5 (31,2)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.7.1.4 Unterbrechung der Studienmedikation aufgrund von TEAE

2.1.7.1.4.1 Geschlecht

Unterbrechung der Studienmedikation aufgrund von TEAE						
Subgruppe (Safety): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,7400						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	23	2 (8,7)	0,61 [0,06; 5,75]	0,57 [0,04; 7,44]	-0,06 [-0,34; 0,23]	1,0000
Agalsidase beta	7	1 (14,3)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	29	6 (20,7)	0,93 [0,30; 2,85]	0,91 [0,22; 3,81]	-0,02 [-0,26; 0,23]	1,0000
Agalsidase beta	18	4 (22,2)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.7.1.4.2 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Unterbrechung der Studienmedikation aufgrund von TEAE						
Subgruppe (Safety): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,3509						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	33	5 (15,2)	0,58 [0,19; 1,74]	0,50 [0,12; 2,02]	-0,11 [-0,34; 0,12]	0,4670
Agalsidase beta	19	5 (26,3)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	19	3 (15,8)	2,45 [0,14; 41,74]	2,76 [0,12; 61,16]	0,16 [-0,01; 0,32]	0,5539
Agalsidase beta	6	0 (0,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.7.2 UE ohne krankheitsbezogene Ereignisse (Sensitivitätsanalysen für die Gesamtrate der UE, SUE und schweren UE)

2.1.7.2.1 Patienten mit mindestens einem UE

2.1.7.2.1.1 Geschlecht

Patienten mit mindestens einem UE						
Subgruppe (Safety): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,0864						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	23	22 (95,7)	1,12 [0,81; 1,53]	3,67 [0,20; 67,65]	0,10 [-0,17; 0,37]	0,4184
Agalsidase beta	7	6 (85,7)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	29	23 (79,3)	0,80 [0,66; 0,98]	0,10 [0,01; 1,85]	-0,21 [-0,35; -0,06]	0,0691
Agalsidase beta	18	18 (100,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.7.2.1.2 Region

Patienten mit mindestens einem UE						
Subgruppe (Safety): Region, Interaktions-p-Wert: 0,0637						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	19	13 (68,4)	0,72 [0,51; 1,02]	0,14 [0,01; 2,81]	-0,32 [-0,52; -0,11]	0,1456
Agalsidase beta	7	7 (100,0)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	33	32 (97,0)	1,03 [0,90; 1,17]	1,88 [0,11; 32,01]	0,03 [-0,10; 0,15]	1,0000
Agalsidase beta	18	17 (94,4)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.7.2.1.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Patienten mit mindestens einem UE						
Subgruppe (Safety): eGFR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,6169						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤60						
Pegunigalsidase alfa	11	9 (81,8)	0,98 [0,62; 1,55]	0,90 [0,06; 12,58]	-0,02 [-0,39; 0,36]	1,0000
Agalsidase beta	6	5 (83,3)				
>90						
Pegunigalsidase alfa	28	26 (92,9)	0,95 [0,81; 1,12]	0,46 [0,02; 10,38]	-0,07 [-0,17; 0,02]	1,0000
Agalsidase beta	11	11 (100,0)				
60 < und ≤ 90						
Pegunigalsidase alfa	13	10 (76,9)	0,79 [0,56; 1,12]	0,18 [0,01; 3,91]	-0,23 [-0,46; 0,00]	0,2571
Agalsidase beta	8	8 (100,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.7.2.1.4 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Patienten mit mindestens einem UE						
Subgruppe (Safety): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,7548						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	33	28 (84,8)	0,90 [0,75; 1,07]	0,31 [0,03; 2,89]	-0,10 [-0,26; 0,06]	0,3966
Agalsidase beta	19	18 (94,7)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	19	17 (89,5)	0,94 [0,72; 1,23]	0,54 [0,02; 12,78]	-0,11 [-0,24; 0,03]	1,0000
Agalsidase beta	6	6 (100,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.7.2.1.5 Klassifizierung des Morbus Fabry

Patienten mit mindestens einem UE						
Subgruppe (Safety): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,2003						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	27	22 (81,5)	0,83 [0,68; 1,02]	0,14 [0,01; 2,75]	-0,19 [-0,33; -0,04]	0,1465
Agalsidase beta	14	14 (100,0)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	25	23 (92,0)	1,01 [0,81; 1,26]	1,15 [0,09; 14,19]	0,01 [-0,19; 0,21]	1,0000
Agalsidase beta	11	10 (90,9)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.7.2.1.6 UPCR-Kategorie zu Baseline

Patienten mit mindestens einem UE						
Subgruppe (Safety): UPCR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,8299						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ 0,5 gr/gr						
Pegunigalsidase alfa	7	6 (85,7)	0,93 [0,56; 1,53]	0,62 [0,02; 19,58]	-0,14 [-0,40; 0,12]	1,0000
Agalsidase beta	3	3 (100,0)				
≥ 1 gr/gr						
Pegunigalsidase alfa	9	6 (66,7)	0,78 [0,40; 1,54]	0,37 [0,01; 10,10]	-0,33 [-0,64; -0,03]	1,0000
Agalsidase beta	2	2 (100,0)				
0,5 < und < 1 gr/gr						
Pegunigalsidase alfa	36	33 (91,7)	0,96 [0,84; 1,11]	0,58 [0,06; 5,97]	-0,03 [-0,16; 0,10]	1,0000
Agalsidase beta	20	19 (95,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.7.2.1.7 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Patienten mit mindestens einem UE						
Subgruppe (Safety): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,8663						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	26	21 (80,8)	0,91 [0,67; 1,22]	0,52 [0,05; 5,22]	-0,08 [-0,34; 0,17]	1,0000
Agalsidase beta	9	8 (88,9)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	26	24 (92,3)	0,93 [0,81; 1,08]	0,30 [0,01; 6,59]	-0,08 [-0,18; 0,03]	0,5168
Agalsidase beta	16	16 (100,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.7.2.1.8 ADA-Status zu Baseline

Patienten mit mindestens einem UE						
Subgruppe (Safety): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,2901						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	34	31 (91,2)	0,97 [0,83; 1,13]	0,65 [0,06; 6,72]	-0,03 [-0,18; 0,12]	1,0000
Agalsidase beta	17	16 (94,1)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	18	14 (77,8)	0,81 [0,60; 1,09]	0,19 [0,01; 3,97]	-0,22 [-0,41; -0,03]	0,2768
Agalsidase beta	8	8 (100,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.7.2.2 Patienten mit mindestens einem Ereignis der Stufe 3 oder höher (CTCAE)

2.1.7.2.2.1 Geschlecht

Patienten mit mindestens einem Ereignis der Stufe 3 oder höher (CTCAE)						
Subgruppe (Safety): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,5620						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	23	3 (13,0)	2,33 [0,13; 40,46]	2,56 [0,12; 55,67]	0,13 [-0,01; 0,27]	1,0000
Agalsidase beta	7	0 (0,0)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	29	11 (37,9)	0,98 [0,46; 2,05]	0,96 [0,29; 3,22]	-0,01 [-0,30; 0,28]	1,0000
Agalsidase beta	18	7 (38,9)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.7.2.2.2 Region

Patienten mit mindestens einem Ereignis der Stufe 3 oder höher (CTCAE)						
Subgruppe (Safety): Region, Interaktions-p-Wert: 0,6545						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	19	4 (21,1)	0,74 [0,17; 3,17]	0,67 [0,09; 4,81]	-0,08 [-0,46; 0,31]	1,0000
Agalsidase beta	7	2 (28,6)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	33	10 (30,3)	1,09 [0,44; 2,70]	1,13 [0,32; 4,03]	0,03 [-0,23; 0,28]	1,0000
Agalsidase beta	18	5 (27,8)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.7.2.2.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Patienten mit mindestens einem Ereignis der Stufe 3 oder höher (CTCAE)						
Subgruppe (Safety): eGFR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,8043						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤60						
Pegunigalsidase alfa	11	1 (9,1)	0,55 [0,04; 7,25]	0,50 [0,03; 9,77]	-0,08 [-0,42; 0,27]	1,0000
Agalsidase beta	6	1 (16,7)				
>90						
Pegunigalsidase alfa	28	7 (25,0)	1,38 [0,34; 5,62]	1,50 [0,26; 8,67]	0,07 [-0,21; 0,35]	1,0000
Agalsidase beta	11	2 (18,2)				
60 < und ≤ 90						
Pegunigalsidase alfa	13	6 (46,1)	0,92 [0,37; 2,29]	0,86 [0,15; 5,00]	-0,04 [-0,48; 0,40]	1,0000
Agalsidase beta	8	4 (50,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.7.2.2.4 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Patienten mit mindestens einem Ereignis der Stufe 3 oder höher (CTCAE)						
Subgruppe (Safety): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,2780						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	33	11 (33,3)	1,27 [0,52; 3,10]	1,40 [0,40; 4,89]	0,07 [-0,18; 0,33]	0,7577
Agalsidase beta	19	5 (26,3)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	19	3 (15,8)	0,47 [0,10; 2,20]	0,38 [0,05; 3,06]	-0,18 [-0,59; 0,24]	0,5623
Agalsidase beta	6	2 (33,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.7.2.2.5 Klassifizierung des Morbus Fabry

Patienten mit mindestens einem Ereignis der Stufe 3 oder höher (CTCAE)						
Subgruppe (Safety): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,3412						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	27	10 (37,0)	1,30 [0,49; 3,40]	1,47 [0,36; 5,95]	0,08 [-0,21; 0,38]	0,7337
Agalsidase beta	14	4 (28,6)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	25	4 (16,0)	0,59 [0,16; 2,19]	0,51 [0,09; 2,79]	-0,11 [-0,41; 0,19]	0,6499
Agalsidase beta	11	3 (27,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.7.2.2.6 UPCR-Kategorie zu Baseline

Patienten mit mindestens einem Ereignis der Stufe 3 oder höher (CTCAE)						
Subgruppe (Safety): UPCR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,6221						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ 0,5 gr/gr						
Pegunigalsidase alfa	7	4 (57,1)	0,64 [0,31; 1,31]	0,18 [0,01; 4,86]	-0,43 [-0,80; -0,06]	0,4750
Agalsidase beta	3	3 (100,0)				
≥ 1 gr/gr						
Pegunigalsidase alfa	9	3 (33,3)	0,67 [0,13; 3,53]	0,50 [0,02; 11,09]	-0,17 [-0,92; 0,59]	1,0000
Agalsidase beta	2	1 (50,0)				
0,5 < und < 1 gr/gr						
Pegunigalsidase alfa	36	7 (19,4)	1,30 [0,38; 4,47]	1,37 [0,31; 6,00]	0,04 [-0,16; 0,25]	1,0000
Agalsidase beta	20	3 (15,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.7.2.2.7 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Patienten mit mindestens einem Ereignis der Stufe 3 oder höher (CTCAE)						
Subgruppe (Safety): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,7897						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	26	4 (15,4)	1,38 [0,18; 10,82]	1,45 [0,14; 15,04]	0,04 [-0,21; 0,29]	1,0000
Agalsidase beta	9	1 (11,1)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	26	10 (38,5)	1,03 [0,46; 2,28]	1,04 [0,29; 3,76]	0,01 [-0,29; 0,31]	1,0000
Agalsidase beta	16	6 (37,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.7.2.2.8 ADA-Status zu Baseline

Patienten mit mindestens einem Ereignis der Stufe 3 oder höher (CTCAE)						
Subgruppe (Safety): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,8940						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	34	10 (29,4)	1,00 [0,41; 2,46]	1,00 [0,28; 3,59]	0,00 [-0,27; 0,27]	1,0000
Agalsidase beta	17	5 (29,4)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	18	4 (22,2)	0,89 [0,20; 3,90]	0,86 [0,12; 6,01]	-0,03 [-0,38; 0,33]	1,0000
Agalsidase beta	8	2 (25,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.7.2.3 Patienten mit mindestens einem SUE

2.1.7.2.3.1 Geschlecht

Patienten mit mindestens einem SUE						
Subgruppe (Safety): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,8597						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	23	1 (4,3)	1,00 [0,05; 22,18]	1,00 [0,04; 27,26]	0,04 [-0,04; 0,13]	1,0000
Agalsidase beta	7	0 (0,0)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	29	6 (20,7)	0,74 [0,27; 2,09]	0,68 [0,17; 2,66]	-0,07 [-0,32; 0,18]	0,7258
Agalsidase beta	18	5 (27,8)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.7.2.3.2 Klassifizierung des Morbus Fabry

Patienten mit mindestens einem SUE						
Subgruppe (Safety): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,6994						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	27	6 (22,2)	0,78 [0,26; 2,31]	0,71 [0,16; 3,11]	-0,06 [-0,35; 0,22]	0,7117
Agalsidase beta	14	4 (28,6)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	25	1 (4,0)	0,44 [0,03; 6,41]	0,42 [0,02; 7,34]	-0,05 [-0,24; 0,14]	0,5238
Agalsidase beta	11	1 (9,1)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

2.1.7.3 UESI: Infusionsbedingte Reaktionen (IRR)**2.1.7.3.1 Jegliche IRR innerhalb von 2 Stunden**

2.1.7.3.1.1 Geschlecht

Jegliche IRR innerhalb von 2 Stunden						
Subgruppe (Safety): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,6240						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	23	2 (8,7)	0,61 [0,06; 5,75]	0,57 [0,04; 7,44]	-0,06 [-0,34; 0,23]	1,0000
Agalsidase beta	7	1 (14,3)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	29	9 (31,0)	1,12 [0,44; 2,81]	1,17 [0,32; 4,28]	0,03 [-0,23; 0,30]	1,0000
Agalsidase beta	18	5 (27,8)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.7.3.1.2 Region

Jegliche IRR innerhalb von 2 Stunden						
Subgruppe (Safety): Region, Interaktions-p-Wert: 0,8405						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	19	3 (15,8)	1,11 [0,14; 8,94]	1,12 [0,10; 13,04]	0,02 [-0,29; 0,32]	1,0000
Agalsidase beta	7	1 (14,3)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	33	8 (24,2)	0,87 [0,33; 2,28]	0,83 [0,23; 3,06]	-0,04 [-0,29; 0,22]	1,0000
Agalsidase beta	18	5 (27,8)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.7.3.1.3 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Jegliche IRR innerhalb von 2 Stunden						
Subgruppe (Safety): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,6925						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	33	7 (21,2)	0,81 [0,30; 2,19]	0,75 [0,20; 2,82]	-0,05 [-0,29; 0,19]	0,7392
Agalsidase beta	19	5 (26,3)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	19	4 (21,1)	1,26 [0,17; 9,24]	1,33 [0,12; 14,90]	0,04 [-0,31; 0,39]	1,0000
Agalsidase beta	6	1 (16,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.7.3.1.4 Klassifizierung des Morbus Fabry

Jegliche IRR innerhalb von 2 Stunden						
Subgruppe (Safety): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,6966						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	27	8 (29,6)	0,83 [0,33; 2,07]	0,76 [0,19; 2,98]	-0,06 [-0,37; 0,24]	0,7337
Agalsidase beta	14	5 (35,7)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	25	3 (12,0)	1,32 [0,15; 11,32]	1,36 [0,13; 14,78]	0,03 [-0,18; 0,24]	1,0000
Agalsidase beta	11	1 (9,1)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.7.3.1.5 UPCR-Kategorie zu Baseline

Jegliche IRR innerhalb von 2 Stunden						
Subgruppe (Safety): UPCR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,4551						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ 0,5 gr/gr						
Pegunigalsidase alfa	7	1 (14,3)	1,50 [0,08; 29,15]	1,62 [0,05; 51,11]	0,14 [-0,12; 0,40]	1,0000
Agalsidase beta	3	0 (0,0)				
≥ 1 gr/gr						
Pegunigalsidase alfa	9	3 (33,3)	0,42 [0,16; 1,12]	0,11 [0,00; 2,93]	-0,67 [-0,97; -0,36]	0,1818
Agalsidase beta	2	2 (100,0)				
0,5 < und < 1 gr/gr						
Pegunigalsidase alfa	36	7 (19,4)	0,97 [0,32; 2,92]	0,97 [0,24; 3,81]	-0,01 [-0,22; 0,21]	1,0000
Agalsidase beta	20	4 (20,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.7.3.1.6 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Jegliche IRR innerhalb von 2 Stunden						
Subgruppe (Safety): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,2890						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	26	6 (23,1)	2,08 [0,29; 14,99]	2,40 [0,25; 23,24]	0,12 [-0,14; 0,38]	0,6478
Agalsidase beta	9	1 (11,1)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	26	5 (19,2)	0,62 [0,21; 1,80]	0,52 [0,12; 2,21]	-0,12 [-0,39; 0,15]	0,4649
Agalsidase beta	16	5 (31,2)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.7.3.1.7 ADA-Status zu Baseline

Jegliche IRR innerhalb von 2 Stunden						
Subgruppe (Safety): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,4948						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	34	5 (14,7)	1,25 [0,27; 5,79]	1,29 [0,22; 7,47]	0,03 [-0,16; 0,22]	1,0000
Agalsidase beta	17	2 (11,8)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	18	6 (33,3)	0,67 [0,26; 1,73]	0,50 [0,09; 2,73]	-0,17 [-0,58; 0,24]	0,6645
Agalsidase beta	8	4 (50,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.7.3.2 Milde IRR innerhalb von 2 Stunden

2.1.7.3.2.1 Geschlecht

Milde IRR innerhalb von 2 Stunden						
Subgruppe (Safety): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,5730						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	23	2 (8,7)	0,61 [0,06; 5,75]	0,57 [0,04; 7,44]	-0,06 [-0,34; 0,23]	1,0000
Agalsidase beta	7	1 (14,3)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	29	8 (27,6)	1,24 [0,44; 3,53]	1,33 [0,34; 5,29]	0,05 [-0,20; 0,31]	0,7441
Agalsidase beta	18	4 (22,2)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.7.3.2.2 Region

Milde IRR innerhalb von 2 Stunden						
Subgruppe (Safety): Region, Interaktions-p-Wert: 0,7559						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	19	2 (10,5)	0,74 [0,08; 6,91]	0,71 [0,05; 9,27]	-0,04 [-0,33; 0,26]	1,0000
Agalsidase beta	7	1 (14,3)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	33	8 (24,2)	1,09 [0,38; 3,13]	1,12 [0,29; 4,39]	0,02 [-0,22; 0,26]	1,0000
Agalsidase beta	18	4 (22,2)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.7.3.2.3 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Milde IRR innerhalb von 2 Stunden						
Subgruppe (Safety): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,7448						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	33	6 (18,2)	0,86 [0,28; 2,68]	0,83 [0,20; 3,43]	-0,03 [-0,25; 0,20]	1,0000
Agalsidase beta	19	4 (21,1)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	19	4 (21,1)	1,26 [0,17; 9,24]	1,33 [0,12; 14,90]	0,04 [-0,31; 0,39]	1,0000
Agalsidase beta	6	1 (16,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.7.3.2.4 Klassifizierung des Morbus Fabry

Milde IRR innerhalb von 2 Stunden						
Subgruppe (Safety): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,7586						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	27	7 (25,9)	0,91 [0,32; 2,58]	0,88 [0,21; 3,71]	-0,03 [-0,32; 0,26]	1,0000
Agalsidase beta	14	4 (28,6)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	25	3 (12,0)	1,32 [0,15; 11,32]	1,36 [0,13; 14,78]	0,03 [-0,18; 0,24]	1,0000
Agalsidase beta	11	1 (9,1)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.7.3.2.5 UPCR-Kategorie zu Baseline

Milde IRR innerhalb von 2 Stunden						
Subgruppe (Safety): UPCR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,2089						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ 0,5 gr/gr						
Pegunigalsidase alfa	7	1 (14,3)	1,50 [0,08; 29,15]	1,62 [0,05; 51,11]	0,14 [-0,12; 0,40]	1,0000
Agalsidase beta	3	0 (0,0)				
≥ 1 gr/gr						
Pegunigalsidase alfa	9	2 (22,2)	0,30 [0,09; 0,98]	0,07 [0,00; 1,91]	-0,78 [-1,05; -0,51]	0,1091
Agalsidase beta	2	2 (100,0)				
0,5 < und < 1 gr/gr						
Pegunigalsidase alfa	36	7 (19,4)	1,30 [0,38; 4,47]	1,37 [0,31; 6,00]	0,04 [-0,16; 0,25]	1,0000
Agalsidase beta	20	3 (15,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.7.3.3 Jegliche IRR innerhalb von 24 Stunden

2.1.7.3.3.1 Geschlecht

Jegliche IRR innerhalb von 24 Stunden						
Subgruppe (Safety): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,9601						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	23	4 (17,4)	1,22 [0,16; 9,19]	1,26 [0,12; 13,59]	0,03 [-0,27; 0,33]	1,0000
Agalsidase beta	7	1 (14,3)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	29	13 (44,8)	1,15 [0,57; 2,34]	1,28 [0,39; 4,23]	0,06 [-0,23; 0,35]	0,7674
Agalsidase beta	18	7 (38,9)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.7.3.3.2 Region

Jegliche IRR innerhalb von 24 Stunden						
Subgruppe (Safety): Region, Interaktions-p-Wert: 0,5263						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	19	5 (26,3)	1,84 [0,26; 13,14]	2,14 [0,20; 22,48]	0,12 [-0,21; 0,45]	1,0000
Agalsidase beta	7	1 (14,3)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	33	12 (36,4)	0,94 [0,45; 1,95]	0,90 [0,27; 2,93]	-0,03 [-0,30; 0,25]	1,0000
Agalsidase beta	18	7 (38,9)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.7.3.3.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Jegliche IRR innerhalb von 24 Stunden						
Subgruppe (Safety): eGFR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,4520						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤60						
Pegunigalsidase alfa	11	5 (45,5)	2,73 [0,41; 18,28]	4,17 [0,36; 48,44]	0,29 [-0,13; 0,71]	0,3334
Agalsidase beta	6	1 (16,7)				
>90						
Pegunigalsidase alfa	28	7 (25,0)	0,69 [0,25; 1,89]	0,58 [0,13; 2,61]	-0,11 [-0,44; 0,21]	0,6940
Agalsidase beta	11	4 (36,4)				
60 < und ≤ 90						
Pegunigalsidase alfa	13	5 (38,5)	1,03 [0,33; 3,17]	1,04 [0,17; 6,40]	0,01 [-0,42; 0,44]	1,0000
Agalsidase beta	8	3 (37,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.7.3.3.4 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Jegliche IRR innerhalb von 24 Stunden						
Subgruppe (Safety): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,8909						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	33	11 (33,3)	1,06 [0,47; 2,39]	1,08 [0,32; 3,63]	0,02 [-0,25; 0,28]	1,0000
Agalsidase beta	19	6 (31,6)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	19	6 (31,6)	0,95 [0,26; 3,51]	0,92 [0,13; 6,51]	-0,02 [-0,45; 0,41]	1,0000
Agalsidase beta	6	2 (33,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.7.3.3.5 Klassifizierung des Morbus Fabry

Jegliche IRR innerhalb von 24 Stunden						
Subgruppe (Safety): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,9443						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	27	12 (44,4)	1,04 [0,50; 2,17]	1,07 [0,29; 3,92]	0,02 [-0,30; 0,34]	1,0000
Agalsidase beta	14	6 (42,9)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	25	5 (20,0)	1,10 [0,25; 4,83]	1,12 [0,18; 6,93]	0,02 [-0,26; 0,29]	1,0000
Agalsidase beta	11	2 (18,2)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.7.3.3.6 UPCR-Kategorie zu Baseline

Jegliche IRR innerhalb von 24 Stunden						
Subgruppe (Safety): UPCR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,2323						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ 0,5 gr/gr						
Pegunigalsidase alfa	7	2 (28,6)	0,86 [0,12; 6,23]	0,80 [0,04; 14,64]	-0,05 [-0,68; 0,58]	1,0000
Agalsidase beta	3	1 (33,3)				
≥ 1 gr/gr						
Pegunigalsidase alfa	9	3 (33,3)	0,42 [0,16; 1,12]	0,11 [0,00; 2,93]	-0,67 [-0,97; -0,36]	0,1818
Agalsidase beta	2	2 (100,0)				
0,5 < und < 1 gr/gr						
Pegunigalsidase alfa	36	12 (33,3)	1,33 [0,55; 3,24]	1,50 [0,44; 5,11]	0,08 [-0,16; 0,33]	0,5613
Agalsidase beta	20	5 (25,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.7.3.3.7 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Jegliche IRR innerhalb von 24 Stunden						
Subgruppe (Safety): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,1612						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	26	9 (34,6)	3,12 [0,46; 21,29]	4,24 [0,46; 39,40]	0,24 [-0,04; 0,51]	0,2346
Agalsidase beta	9	1 (11,1)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	26	8 (30,8)	0,70 [0,32; 1,57]	0,57 [0,16; 2,08]	-0,13 [-0,43; 0,17]	0,5113
Agalsidase beta	16	7 (43,8)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.7.3.3.8 ADA-Status zu Baseline

Jegliche IRR innerhalb von 24 Stunden						
Subgruppe (Safety): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,1677						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	34	8 (23,5)	2,00 [0,48; 8,41]	2,31 [0,43; 12,32]	0,12 [-0,09; 0,33]	0,4632
Agalsidase beta	17	2 (11,8)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	18	9 (50,0)	0,67 [0,36; 1,23]	0,33 [0,05; 2,12]	-0,25 [-0,63; 0,13]	0,3945
Agalsidase beta	8	6 (75,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.7.3.4 Milde IRR innerhalb von 24 Stunden

2.1.7.3.4.1 Geschlecht

Milde IRR innerhalb von 24 Stunden						
Subgruppe (Safety): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,9187						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	23	4 (17,4)	1,22 [0,16; 9,19]	1,26 [0,12; 13,59]	0,03 [-0,27; 0,33]	1,0000
Agalsidase beta	7	1 (14,3)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	29	11 (37,9)	1,37 [0,57; 3,29]	1,59 [0,44; 5,69]	0,10 [-0,17; 0,37]	0,5406
Agalsidase beta	18	5 (27,8)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.7.3.4.2 Region

Milde IRR innerhalb von 24 Stunden						
Subgruppe (Safety): Region, Interaktions-p-Wert: 0,8548						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	19	4 (21,1)	1,47 [0,20; 11,03]	1,60 [0,15; 17,41]	0,07 [-0,25; 0,39]	1,0000
Agalsidase beta	7	1 (14,3)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	33	11 (33,3)	1,20 [0,49; 2,91]	1,30 [0,37; 4,58]	0,06 [-0,21; 0,32]	0,7605
Agalsidase beta	18	5 (27,8)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.7.3.4.3 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Milde IRR innerhalb von 24 Stunden						
Subgruppe (Safety): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,7730						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	33	10 (30,3)	1,15 [0,46; 2,87]	1,22 [0,34; 4,30]	0,04 [-0,21; 0,29]	1,0000
Agalsidase beta	19	5 (26,3)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	19	5 (26,3)	1,58 [0,23; 11,00]	1,79 [0,17; 19,25]	0,10 [-0,26; 0,45]	1,0000
Agalsidase beta	6	1 (16,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.7.3.4.4 Klassifizierung des Morbus Fabry

Milde IRR innerhalb von 24 Stunden						
Subgruppe (Safety): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,8553						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	27	10 (37,0)	1,30 [0,49; 3,40]	1,47 [0,36; 5,95]	0,08 [-0,21; 0,38]	0,7337
Agalsidase beta	14	4 (28,6)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	25	5 (20,0)	1,10 [0,25; 4,83]	1,12 [0,18; 6,93]	0,02 [-0,26; 0,29]	1,0000
Agalsidase beta	11	2 (18,2)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.7.3.4.5 UPCR-Kategorie zu Baseline

Milde IRR innerhalb von 24 Stunden						
Subgruppe (Safety): UPCR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,0762						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ 0,5 gr/gr						
Pegunigalsidase alfa	7	2 (28,6)	0,86 [0,12; 6,23]	0,80 [0,04; 14,64]	-0,05 [-0,68; 0,58]	1,0000
Agalsidase beta	3	1 (33,3)				
≥ 1 gr/gr						
Pegunigalsidase alfa	9	2 (22,2)	0,30 [0,09; 0,98]	0,07 [0,00; 1,91]	-0,78 [-1,05; -0,51]	0,1091
Agalsidase beta	2	2 (100,0)				
0,5 < und < 1 gr/gr						
Pegunigalsidase alfa	36	11 (30,6)	2,04 [0,64; 6,46]	2,49 [0,60; 10,29]	0,16 [-0,06; 0,37]	0,3343
Agalsidase beta	20	3 (15,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.7.3.4.6 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Milde IRR innerhalb von 24 Stunden						
Subgruppe (Safety): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,1938						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	26	9 (34,6)	3,12 [0,46; 21,29]	4,24 [0,46; 39,40]	0,24 [-0,04; 0,51]	0,2346
Agalsidase beta	9	1 (11,1)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	26	6 (23,1)	0,74 [0,27; 2,03]	0,66 [0,16; 2,67]	-0,08 [-0,36; 0,20]	0,7203
Agalsidase beta	16	5 (31,2)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.7.3.4.7 ADA-Status zu Baseline

Milde IRR innerhalb von 24 Stunden						
Subgruppe (Safety): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,2752						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	34	8 (23,5)	2,00 [0,48; 8,41]	2,31 [0,43; 12,32]	0,12 [-0,09; 0,33]	0,4632
Agalsidase beta	17	2 (11,8)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	18	7 (38,9)	0,78 [0,32; 1,92]	0,64 [0,12; 3,41]	-0,11 [-0,52; 0,30]	0,6828
Agalsidase beta	8	4 (50,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.7.4 UESI: Anti-Drug-Antikörper (ADA)

2.1.7.4.1 Patienten mit IgG-ADA zu Woche 104

2.1.7.4.1.1 Geschlecht

Patienten mit IgG-ADA zu Woche 104						
Subgruppe (Safety): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,9893						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	22	1 (4,5)	1,04 [0,05; 23,11]	1,05 [0,04; 28,57]	0,05 [-0,04; 0,13]	1,0000
Agalsidase beta	7	0 (0,0)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	25	10 (40,0)	1,07 [0,48; 2,36]	1,11 [0,31; 4,04]	0,03 [-0,28; 0,33]	1,0000
Agalsidase beta	16	6 (37,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.7.4.1.2 Region

Patienten mit IgG-ADA zu Woche 104						
Subgruppe (Safety): Region, Interaktions-p-Wert: 0,4199						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	17	3 (17,6)	0,53 [0,11; 2,44]	0,43 [0,05; 3,52]	-0,16 [-0,58; 0,26]	0,5756
Agalsidase beta	6	2 (33,3)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	30	8 (26,7)	1,13 [0,40; 3,21]	1,18 [0,30; 4,71]	0,03 [-0,22; 0,29]	1,0000
Agalsidase beta	17	4 (23,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.7.4.1.3 Klassifizierung des Morbus Fabry

Patienten mit IgG-ADA zu Woche 104						
Subgruppe (Safety): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,1897						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	24	10 (41,7)	1,25 [0,49; 3,17]	1,43 [0,34; 6,08]	0,08 [-0,25; 0,42]	0,7272
Agalsidase beta	12	4 (33,3)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	23	1 (4,3)	0,24 [0,02; 2,36]	0,20 [0,02; 2,55]	-0,14 [-0,38; 0,10]	0,2390
Agalsidase beta	11	2 (18,2)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.7.4.1.4 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Patienten mit IgG-ADA zu Woche 104						
Subgruppe (Safety): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,3693						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	23	4 (17,4)	3,00 [0,18; 49,83]	3,46 [0,17; 72,41]	0,17 [0,02; 0,33]	0,5476
Agalsidase beta	7	0 (0,0)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	24	7 (29,2)	0,78 [0,32; 1,89]	0,69 [0,18; 2,62]	-0,08 [-0,38; 0,22]	0,7330
Agalsidase beta	16	6 (37,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

2.1.7.4.1.5 ADA-Status zu Baseline

Patienten mit IgG-ADA zu Woche 104						
Subgruppe (Safety): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,6723						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	32	1 (3,1)	1,55 [0,07; 35,94]	1,57 [0,06; 40,75]	0,03 [-0,03; 0,09]	1,0000
Agalsidase beta	16	0 (0,0)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	15	10 (66,7)	0,78 [0,49; 1,24]	0,33 [0,03; 3,58]	-0,19 [-0,54; 0,16]	0,6158
Agalsidase beta	7	6 (85,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3 Auswertungen zur Interimanalyse (Woche 52)

3.1 Hauptanalysen

3.1.1 Morbidität: Main Severity Score Index

3.1.1.1 Veränderung des MSSI-Scores gegenüber Baseline

3.1.1.1.1 Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score						
Gesamtpopulation (ITT)						
Visite	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Pegunigalsidase alfa	52	23,46 (9,80)	-	-	-
	Agalsidase beta	25	25,16 (10,71)			
Woche 52	Pegunigalsidase alfa	43	22,84 (11,16)	-0,60 (0,69) [-1,97; 0,77]	0,36 (1,18) [-1,96; 2,68]	0,7591
	Agalsidase beta	23	24,09 (10,52)	-0,96 (0,95) [-2,83; 0,91]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures						

3.1.1.1.2 Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'kardiovaskulär'

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'kardiovaskulär'						
Gesamtpopulation (ITT)						
Visite	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Pegunigalsidase alfa	52	5,87 (5,63)	-	-	-
	Agalsidase beta	25	7,08 (5,46)			
Woche 52	Pegunigalsidase alfa	43	6,12 (5,59)	0,32 (0,37) [-0,41; 1,04]	-0,01 (0,62) [-1,24; 1,22]	0,9869

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'kardiovaskulär'						
Gesamtpopulation (ITT)						
Visite	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	Agalsidase beta	23	7,09 (5,51)	0,33 (0,50) [-0,66; 1,31]		

3.1.1.1.3 Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'allgemein'

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'allgemein'						
Gesamtpopulation (ITT)						
Visite	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Pegunigalsidase alfa	52	6,19 (3,05)	-	-	-
	Agalsidase beta	25	6,92 (2,83)			
Woche 52	Pegunigalsidase alfa	43	5,79 (3,30)	-0,40 (0,23) [-0,85; 0,05]	0,29 (0,39) [-0,47; 1,06]	0,4486
	Agalsidase beta	23	6,26 (3,00)	-0,69 (0,31) [-1,31; -0,08]		
<p><i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i></p>						
<p>ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures</p>						

3.1.1.1.4 Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'neurologisch'

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'neurologisch'						
Gesamtpopulation (ITT)						
Visite	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Pegunigalsidase alfa	52	7,48 (4,20)	-	-	-
	Agalsidase beta	25	7,32 (4,80)			

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'neurologisch'						
Gesamtpopulation (ITT)						
Visite	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Woche 52	Pegunigalsidase alfa	43	7,40 (4,35)	-0,27 (0,37) [-1,01; 0,46]	0,37 (0,63) [-0,88; 1,61]	0,5620
	Agalsidase beta	23	6,74 (4,61)	-0,64 (0,51) [-1,64; 0,36]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures						

3.1.1.1.5 Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'renal'

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'renal'						
Gesamtpopulation (ITT)						
Visite	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Pegunigalsidase alfa	52	3,92 (3,22)	-	-	-
	Agalsidase beta	25	3,84 (3,16)			
Woche 52	Pegunigalsidase alfa	43	3,53 (3,17)	-0,34 (0,30) [-0,93; 0,24]	-0,51 (0,50) [-1,50; 0,48]	0,3152
	Agalsidase beta	23	4,00 (2,95)	0,16 (0,41) [-0,64; 0,96]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures						

3.1.1.2 Responderanalysen für den MSSI-Score

3.1.1.2.1 Mainz Severity Score Index (MSSI) < 20 (Woche 52)

Mainz Severity Score Index (MSSI) < 20 (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	45	19 (42,2)	1,21 [0,63; 2,34]	1,37 [0,48; 3,89]	0,07 [-0,17; 0,32]	0,6087
Agalsidase beta	23	8 (34,8)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.1.1.2.2 Mainz Severity Score Index (MSSI) ≤ 40 (Woche 52)

Mainz Severity Score Index (MSSI) ≤ 40 (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	45	42 (93,3)	1,02 [0,88; 1,19]	1,33 [0,21; 8,60]	0,02 [-0,12; 0,16]	1,0000
Agalsidase beta	23	21 (91,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.1.1.2.3 Responderanalyse für Verbesserung der Krankheitsschwere gemäß MSSI-Kategorien (Woche 52)

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in Krankheitsschwere gemäß MSSI-Kategorie (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	43	3 (7,0)	0,80 [0,14; 4,46]	0,79 [0,12; 5,09]	-0,02 [-0,16; 0,12]	1,0000
Agalsidase beta	23	2 (8,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.1.1.2.4 Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score (MID = 15 %) (Woche 52)

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	43	0 (0,0)	0,18 [0,01; 4,29]	0,17 [0,01; 4,41]	-0,04 [-0,13; 0,04]	0,3485
Agalsidase beta	23	1 (4,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.1.1.2.5 Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score (MID = 15 %) Kategorie 'allgemein' (Woche 52)

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'allgemein' (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	43	4 (9,3)	0,43 [0,13; 1,44]	0,37 [0,09; 1,54]	-0,12 [-0,31; 0,07]	0,2578
Agalsidase beta	23	5 (21,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.1.1.2.6 Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score (MID = 15 %) Kategorie 'kardiovaskulär' (Woche 52)

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'kardiovaskulär' (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	43	2 (4,6)	0,53 [0,08; 3,55]	0,51 [0,07; 3,90]	-0,04 [-0,17; 0,09]	0,6062
Agalsidase beta	23	2 (8,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.1.1.2.7 Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score (MID = 15 %) Kategorie 'neurologisch' (Woche 52)

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'neurologisch' (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	43	4 (9,3)	0,31 [0,10; 0,94]	0,23 [0,06; 0,91]	-0,21 [-0,42; 0,00]	0,0399
Agalsidase beta	23	7 (30,4)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel; Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.1.1.2.8 Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score (MID = 15 %) Kategorie 'renal' (Woche 52)

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'renal' (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	43	6 (13,9)	1,60 [0,35; 7,32]	1,70 [0,31; 9,20]	0,05 [-0,10; 0,21]	0,7032
Agalsidase beta	23	2 (8,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel; Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.1.2 Morbidität: Veränderung des Schmerzerlebens gemessen anhand des BPI-SF

3.1.2.1 Veränderung der BPI-SF-Scores gegenüber Baseline

3.1.2.1.1 Veränderung gegenüber Baseline in 'stärkster Schmerz'

Veränderung gegenüber Baseline in 'stärkster Schmerz'						
Gesamtpopulation (ITT)						
Visite	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Pegunigalsidase alfa	52	3,48 (2,92)	-	-	-

Veränderung gegenüber Baseline in 'stärkster Schmerz'						
Gesamtpopulation (ITT)						
Visite	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	Agalsidase beta	25	2,56 (2,80)			
Woche 52	Pegunigalsidase alfa	45	3,33 (2,76)	0,11 (0,28) [-0,43; 0,65]	0,33 (0,48) [-0,61; 1,27]	0,4894
	Agalsidase beta	23	2,39 (2,68)	-0,22 (0,39) [-0,98; 0,54]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures						

3.1.2.1.2 Veränderung gegenüber Baseline in 'geringster Schmerz'

Veränderung gegenüber Baseline in 'geringster Schmerz'						
Gesamtpopulation (ITT)						
Visite	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Pegunigalsidase alfa	52	1,08 (1,63)	-	-	-
	Agalsidase beta	25	1,20 (1,96)			
Woche 52	Pegunigalsidase alfa	45	1,29 (2,16)	0,13 (0,20) [-0,26; 0,53]	0,51 (0,34) [-0,17; 1,19]	0,1420
	Agalsidase beta	23	0,70 (1,33)	-0,37 (0,28) [-0,93; 0,18]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures						

3.1.2.1.3 Veränderung gegenüber Baseline in 'durchschnittlicher Schmerz'

Veränderung gegenüber Baseline in 'durchschnittlicher Schmerz'						
Gesamtpopulation (ITT)						
Visite	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Pegunigalsidase alfa	52	2,25 (2,16)	-	-	-
	Agalsidase beta	25	2,24 (1,96)			
Woche 52	Pegunigalsidase alfa	45	2,33 (2,26)	0,17 (0,23) [-0,28; 0,63]	0,13 (0,40) [-0,65; 0,92]	0,7422
	Agalsidase beta	23	2,22 (2,02)	0,04 (0,32) [-0,60; 0,68]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures						

3.1.2.1.4 Veränderung gegenüber Baseline in 'momentaner Schmerz'

Veränderung gegenüber Baseline in 'momentaner Schmerz'						
Gesamtpopulation (ITT)						
Visite	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Pegunigalsidase alfa	52	1,83 (2,31)	-	-	-
	Agalsidase beta	25	1,44 (2,29)			
Woche 52	Pegunigalsidase alfa	45	1,58 (2,30)	-0,17 (0,24) [-0,63; 0,29]	-0,16 (0,40) [-0,95; 0,64]	0,7017
	Agalsidase beta	23	1,30 (2,10)	-0,01 (0,33) [-0,66; 0,63]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures						

3.1.2.1.5 Veränderung gegenüber Baseline in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz'

Veränderung gegenüber Baseline in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz'						
Gesamtpopulation (ITT)						
Visite	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Pegunigalsidase alfa	52	2,16 (2,02)	-	-	-
	Agalsidase beta	25	1,86 (2,03)			
Woche 52	Pegunigalsidase alfa	45	2,13 (2,15)	0,04 (0,19) [-0,32; 0,41]	0,15 (0,32) [-0,48; 0,78]	0,6356
	Agalsidase beta	23	1,65 (1,85)	-0,11 (0,26) [-0,62; 0,40]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures						

3.1.2.1.6 Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz'

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz'						
Gesamtpopulation (ITT)						
Visite	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Pegunigalsidase alfa	52	2,46 (2,97)	-	-	-
	Agalsidase beta	25	1,68 (2,30)			
Woche 52	Pegunigalsidase alfa	45	1,98 (2,84)	-0,37 (0,33) [-1,02; 0,28]	-0,53 (0,57) [-1,65; 0,59]	0,3488
	Agalsidase beta	23	1,96 (2,65)	0,16 (0,46) [-0,74; 1,07]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>						

3.1.2.1.7 Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz'

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz'						
Gesamtpopulation (ITT)						
Visite	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Pegunigalsidase alfa	52	2,35 (2,95)	-	-	-
	Agalsidase beta	25	2,04 (2,68)			
Woche 52	Pegunigalsidase alfa	45	1,98 (2,51)	-0,30 (0,31) [-0,92; 0,32]	0,11 (0,54) [-0,96; 1,18]	0,8395
	Agalsidase beta	23	1,70 (2,67)	-0,41 (0,44) [-1,28; 0,46]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures						

3.1.2.1.8 Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz'

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz'						
Gesamtpopulation (ITT)						
Visite	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Pegunigalsidase alfa	52	2,06 (3,07)	-	-	-
	Agalsidase beta	25	1,92 (2,80)			
Woche 52	Pegunigalsidase alfa	45	1,93 (2,75)	-0,05 (0,26) [-0,57; 0,47]	0,19 (0,46) [-0,71; 1,08]	0,6838
	Agalsidase beta	23	1,70 (2,40)	-0,24 (0,37) [-0,97; 0,49]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>						

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz'						
Gesamtpopulation (ITT)						
Visite	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures						

3.1.2.1.9 Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz'

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz'						
Gesamtpopulation (ITT)						
Visite	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Pegunigalsidase alfa	52	2,54 (3,30)	-	-	-
	Agalsidase beta	25	2,40 (2,97)			
Woche 52	Pegunigalsidase alfa	45	1,98 (2,82)	-0,49 (0,29) [-1,07; 0,08]	-0,35 (0,50) [-1,34; 0,64]	0,4855
	Agalsidase beta	23	2,26 (2,90)	-0,14 (0,41) [-0,95; 0,67]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures						

3.1.2.1.10 Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz'

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz'						
Gesamtpopulation (ITT)						
Visite	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Pegunigalsidase alfa	52	1,75 (2,77)	-	-	-
	Agalsidase beta	25	1,56 (2,74)			

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz'						
Gesamtpopulation (ITT)						
Visite	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Woche 52	Pegunigalsidase alfa	45	1,73 (2,51)	0,06 (0,30) [-0,53; 0,66]	0,22 (0,52) [-0,81; 1,25]	0,6743
	Agalsidase beta	23	1,43 (2,41)	-0,16 (0,43) [-0,99; 0,68]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures						

3.1.2.1.11 Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz'

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz'						
Gesamtpopulation (ITT)						
Visite	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Pegunigalsidase alfa	52	2,40 (3,17)	-	-	-
	Agalsidase beta	25	1,48 (2,58)			
Woche 52	Pegunigalsidase alfa	45	1,98 (2,71)	-0,21 (0,29) [-0,77; 0,36]	0,04 (0,50) [-0,94; 1,02]	0,9304
	Agalsidase beta	23	1,39 (2,55)	-0,25 (0,40) [-1,04; 0,54]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures						

3.1.2.1.12 Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz'

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz'						
Gesamtpopulation (ITT)						
Visite	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Pegunigalsidase alfa	52	2,38 (3,14)	-	-	-
	Agalsidase beta	25	1,80 (2,58)			
Woche 52	Pegunigalsidase alfa	45	2,00 (2,77)	-0,27 (0,32) [-0,90; 0,35]	-0,22 (0,55) [-1,30; 0,86]	0,6878
	Agalsidase beta	23	1,78 (2,80)	-0,05 (0,45) [-0,93; 0,82]		
<p><i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i></p>						
<p>ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures</p>						

3.1.2.1.13 Veränderung gegenüber Baseline in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz'

Veränderung gegenüber Baseline in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz'						
Gesamtpopulation (ITT)						
Visite	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Pegunigalsidase alfa	52	2,28 (2,68)	-	-	-
	Agalsidase beta	25	1,84 (2,42)			
Woche 52	Pegunigalsidase alfa	45	1,94 (2,41)	-0,24 (0,25) [-0,72; 0,25]	-0,11 (0,42) [-0,95; 0,72]	0,7919
	Agalsidase beta	23	1,75 (2,46)	-0,12 (0,34) [-0,80; 0,56]		

Veränderung gegenüber Baseline in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz'						
Gesamtpopulation (ITT)						
Visite	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures						

3.1.2.2 Responderanalysen für den BPI-SF-Score

3.1.2.2.1 Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'stärkster Schmerz' (Woche 52)

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'stärkster Schmerz' (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	45	9 (20,0)	4,60	5,50	0,16	0,1466
Agalsidase beta	23	1 (4,3)	[0,62; 34,12]	[0,65; 46,42]	[0,01; 0,30]	
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.1.2.2.2 Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'geringster Schmerz' (Woche 52)

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'geringster Schmerz' (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	45	3 (6,7)	0,51	0,48	-0,06	0,3989
Agalsidase beta	23	3 (13,0)	[0,11; 2,34]	[0,09; 2,57]	[-0,22; 0,09]	
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.1.2.2.3 Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'durchschnittlicher Schmerz' (Woche 52)

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'durchschnittlicher Schmerz' (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	45	5 (11,1)	0,64 [0,19; 2,15]	0,59 [0,14; 2,47]	-0,06 [-0,24; 0,12]	0,4743
Agalsidase beta	23	4 (17,4)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.1.2.2.4 Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'momentaner Schmerz' (Woche 52)

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'momentaner Schmerz' (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	45	6 (13,3)	1,02 [0,28; 3,72]	1,03 [0,23; 4,54]	0,00 [-0,17; 0,17]	1,0000
Agalsidase beta	23	3 (13,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.1.2.2.5 Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz' (Woche 52)

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz' (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	45	4 (8,9)	2,04 [0,24; 17,25]	2,15 [0,23; 20,40]	0,05 [-0,07; 0,16]	0,6556
Agalsidase beta	23	1 (4,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.1.2.2.6 Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz' (Woche 52)

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz' (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	45	12 (26,7)	3,07 [0,75; 12,56]	3,82 [0,78; 18,79]	0,18 [0,01; 0,35]	0,1161
Agalsidase beta	23	2 (8,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.1.2.2.7 Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz' (Woche 52)

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz' (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	45	10 (22,2)	2,56 [0,61; 10,71]	3,00 [0,60; 15,03]	0,14 [-0,03; 0,30]	0,1998
Agalsidase beta	23	2 (8,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.1.2.2.8 Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz' (Woche 52)

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz' (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	45	9 (20,0)	1,15 [0,40; 3,34]	1,19 [0,32; 4,37]	0,03 [-0,17; 0,22]	1,0000
Agalsidase beta	23	4 (17,4)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz' (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.1.2.2.9 Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz' (Woche 52)

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz' (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	45	11 (24,4)	2,81	3,40	0,16	0,1925
Agalsidase beta	23	2 (8,7)	[0,68; 11,63]	[0,68; 16,86]	[-0,01; 0,33]	
Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel; Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.1.2.2.10 Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz' (Woche 52)

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz' (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	45	7 (15,6)	1,19	1,23	0,03	1,0000
Agalsidase beta	23	3 (13,0)	[0,34; 4,19]	[0,29; 5,27]	[-0,15; 0,20]	
Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel; Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.1.2.2.11 Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz' (Woche 52)

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz' (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	45	9 (20,0)	1,53 [0,46; 5,12]	1,67 [0,40; 6,87]	0,07 [-0,11; 0,25]	0,7379
Agalsidase beta	23	3 (13,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.1.2.2.12 Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz' (Woche 52)

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz' (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	45	9 (20,0)	2,30 [0,54; 9,78]	2,62 [0,52; 13,32]	0,11 [-0,05; 0,28]	0,3101
Agalsidase beta	23	2 (8,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.1.2.2.13 Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz' (Woche 52)

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz' (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	45	5 (11,1)	5,74 [0,33; 99,48]	6,38 [0,34; 120,65]	0,11 [0,02; 0,20]	0,1587
Agalsidase beta	23	0 (0,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz' (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.1.2.2.14 Responderanalyse für Verbesserung in 'durchschnittlicher Schmerz' (Woche 52)

Responderanalyse für Verbesserung in 'durchschnittlicher Schmerz' (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	45	12 (26,7)	1,23 [0,49; 3,06]	1,31 [0,40; 4,31]	0,05 [-0,16; 0,26]	0,7720
Agalsidase beta	23	5 (21,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.1.2.2.15 Responderanalyse für Verbesserung in 'stärkster Schmerz' (Woche 52)

Responderanalyse für Verbesserung in 'stärkster Schmerz' (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	45	15 (33,3)	1,10 [0,52; 2,30]	1,14 [0,39; 3,38]	0,03 [-0,20; 0,26]	1,0000
Agalsidase beta	23	7 (30,4)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.1.2.2.16 Responderanalyse für Verbesserung in 'geringster Schmerz' (Woche 52)

Responderanalyse für Verbesserung in 'geringster Schmerz' (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	45	10 (22,2)				0,5568

Responderanalyse für Verbesserung in 'geringster Schmerz' (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Agalsidase beta	23	7 (30,4)	0,73 [0,32; 1,67]	0,65 [0,21; 2,03]	-0,08 [-0,31; 0,14]	
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.1.2.2.17 Responderanalyse für Verbesserung in 'momentaner Schmerz' (Woche 52)

Responderanalyse für Verbesserung in 'momentaner Schmerz' (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	45	16 (35,6)	1,36 [0,62; 3,01]	1,56 [0,51; 4,76]	0,09 [-0,13; 0,32]	0,5851
Agalsidase beta	23	6 (26,1)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.1.2.2.18 Responderanalyse für Verbesserung in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz' (Woche 52)

Responderanalyse für Verbesserung in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz' (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	45	17 (37,8)	1,09 [0,55; 2,13]	1,14 [0,40; 3,25]	0,03 [-0,21; 0,27]	1,0000
Agalsidase beta	23	8 (34,8)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.1.2.2.19 Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz' (Woche 52)

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz' (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	45	18 (40,0)	3,07 [1,01; 9,34]	4,44 [1,15; 17,18]	0,27 [0,07; 0,47]	0,0278
Agalsidase beta	23	3 (13,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.1.2.2.20 Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz' (Woche 52)

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz' (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	45	15 (33,3)	1,10 [0,52; 2,30]	1,14 [0,39; 3,38]	0,03 [-0,20; 0,26]	1,0000
Agalsidase beta	23	7 (30,4)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.1.2.2.21 Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz' (Woche 52)

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz' (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	45	13 (28,9)	1,33 [0,54; 3,27]	1,46 [0,45; 4,77]	0,07 [-0,14; 0,29]	0,5767
Agalsidase beta	23	5 (21,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.1.2.2.22 Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz' (Woche 52)

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz' (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	45	19 (42,2)	1,62 [0,75; 3,49]	2,07 [0,69; 6,24]	0,16 [-0,07; 0,39]	0,2879
Agalsidase beta	23	6 (26,1)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.1.2.2.23 Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz' (Woche 52)

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz' (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	45	10 (22,2)	1,28 [0,45; 3,63]	1,36 [0,37; 4,92]	0,05 [-0,15; 0,25]	0,7580
Agalsidase beta	23	4 (17,4)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.1.2.2.24 Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz' (Woche 52)

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz' (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	45	9 (20,0)	1,53 [0,46; 5,12]	1,67 [0,40; 6,87]	0,07 [-0,11; 0,25]	0,7379
Agalsidase beta	23	3 (13,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.1.2.2.25 Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz' (Woche 52)

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz' (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	45	16 (35,6)	1,64 [0,69; 3,90]	1,99 [0,62; 6,36]	0,14 [-0,08; 0,36]	0,2806
Agalsidase beta	23	5 (21,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.1.2.2.26 Responderanalyse für Verbesserung in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz' (Woche 52)

Responderanalyse für Verbesserung in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz' (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	45	20 (44,4)	1,14 [0,62; 2,08]	1,24 [0,45; 3,46]	0,05 [-0,19; 0,30]	0,7971
Agalsidase beta	23	9 (39,1)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.1.2.2.27 Responderanalyse für Verschlechterung in 'durchschnittlicher Schmerz' (Woche 52)

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'durchschnittlicher Schmerz' (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	45	14 (31,1)	1,02 [0,48; 2,18]	1,03 [0,35; 3,07]	0,01 [-0,22; 0,24]	1,0000
Agalsidase beta	23	7 (30,4)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.1.2.2.28 Responderanalyse für Verschlechterung in 'stärkster Schmerz' (Woche 52)

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'stärkster Schmerz' (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	45	13 (28,9)	1,33 [0,54; 3,27]	1,46 [0,45; 4,77]	0,07 [-0,14; 0,29]	0,5767
Agalsidase beta	23	5 (21,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.1.2.2.29 Responderanalyse für Verschlechterung in 'geringster Schmerz' (Woche 52)

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'geringster Schmerz' (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	45	10 (22,2)	1,70 [0,52; 5,59]	1,90 [0,47; 7,74]	0,09 [-0,09; 0,28]	0,5186
Agalsidase beta	23	3 (13,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.1.2.2.30 Responderanalyse für Verschlechterung in 'momentaner Schmerz' (Woche 52)

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'momentaner Schmerz' (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	45	12 (26,7)	1,02 [0,44; 2,37]	1,03 [0,33; 3,23]	0,01 [-0,22; 0,23]	1,0000
Agalsidase beta	23	6 (26,1)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.1.2.2.31 Responderanalyse für Verschlechterung in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz' (Woche 52)

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz' (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	45	18 (40,0)	1,31 [0,64; 2,68]	1,52 [0,52; 4,44]	0,10 [-0,14; 0,33]	0,5960
Agalsidase beta	23	7 (30,4)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.1.2.2.32 Responderanalyse für Verschlechterung in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz' (Woche 52)

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz' (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	45	9 (20,0)	0,66 [0,28; 1,54]	0,57 [0,18; 1,80]	-0,10 [-0,33; 0,12]	0,3751
Agalsidase beta	23	7 (30,4)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.1.2.2.33 Responderanalyse für Verschlechterung in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz' (Woche 52)

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz' (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	45	11 (24,4)	1,87 [0,58; 6,06]	2,16 [0,54; 8,67]	0,11 [-0,07; 0,30]	0,3522
Agalsidase beta	23	3 (13,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz' (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.1.2.2.34 Responderanalyse für Verschlechterung in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz' (Woche 52)

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz' (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	45	9 (20,0)	1,15 [0,40; 3,34]	1,19 [0,32; 4,37]	0,03 [-0,17; 0,22]	1,0000
Agalsidase beta	23	4 (17,4)				
Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.1.2.2.35 Responderanalyse für Verschlechterung in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz' (Woche 52)

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz' (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	45	0 (0,0)	-	-	0,00 [0,00; 0,00]	1,0000
Agalsidase beta	23	0 (0,0)				
Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.1.2.2.36 Responderanalyse für Verschlechterung in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz' (Woche 52)

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz' (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	45	13 (28,9)	1,11 [0,48; 2,53]	1,15 [0,37; 3,57]	0,03 [-0,20; 0,25]	1,0000
Agalsidase beta	23	6 (26,1)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.1.2.2.37 Responderanalyse für Verschlechterung in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz' (Woche 52)

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz' (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	45	13 (28,9)	1,33 [0,54; 3,27]	1,46 [0,45; 4,77]	0,07 [-0,14; 0,29]	0,5767
Agalsidase beta	23	5 (21,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.1.2.2.38 Responderanalyse für Verschlechterung in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz' (Woche 52)

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz' (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	45	9 (20,0)	0,92 [0,35; 2,43]	0,90 [0,26; 3,08]	-0,02 [-0,22; 0,19]	1,0000
Agalsidase beta	23	5 (21,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz' (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.1.2.2.39 Responderanalyse für Verschlechterung in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz' (Woche 52)

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz' (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	45	12 (26,7)	0,88 [0,40; 1,92]	0,83 [0,27; 2,51]	-0,04 [-0,27; 0,19]	0,7801
Agalsidase beta	23	7 (30,4)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.1.3 Morbidität: Veränderung des Gesundheitszustandes gemessen anhand der EQ-5D-5L VAS

3.1.3.1 Veränderung der EQ-5D-5L-VAS-Scores gegenüber Baseline

3.1.3.1.1 Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS

Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS						
Gesamtpopulation (ITT)						
Visite	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Pegunigalsidase alfa	52	74,58 (22,40)	-	-	-
	Agalsidase beta	25	75,92 (14,56)			

Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS						
Gesamtpopulation (ITT)						
Visite	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Woche 52	Pegunigalsidase alfa	45	74,76 (17,62)	-1,01 (2,01) [-4,96; 2,94]	-5,55 (3,45) [-12,34; 1,25]	0,1093
	Agalsidase beta	23	80,22 (16,27)	4,54 (2,81) [-0,99; 10,07]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures						

3.1.3.2 Responderanalysen für den EQ-5D-5L-VAS-Score

3.1.3.2.1 Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS (MID = 7 Punkte) (Woche 52)

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS (MID = 7 Punkte) (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	45	11 (24,4)	0,62 [0,30; 1,29]	0,50 [0,17; 1,48]	-0,15 [-0,38; 0,09]	0,2639
Agalsidase beta	23	9 (39,1)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.1.3.2.2 Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS (MID = 10 Punkte) (Woche 52)

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS (MID = 10 Punkte) (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	45	11 (24,4)	0,70 [0,33; 1,50]	0,61 [0,20; 1,81]	-0,10 [-0,34; 0,13]	0,4022
Agalsidase beta	23	8 (34,8)				

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS (MID = 10 Punkte) (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.1.3.2.3 Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS (MID = 15 Punkte) (Woche 52)

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS (MID = 15 Punkte) (Woche 52)						
Gesamtpopulation (ITT)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	45	6 (13,3)	0,51 [0,19; 1,41]	0,44 [0,12; 1,55]	-0,13 [-0,33; 0,08]	0,3127
Agalsidase beta	23	6 (26,1)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.1.4 Morbidität: Veränderung der kardialen Hypertrophie gemessen anhand des LVMI

3.1.4.1.1 Veränderung gegenüber Baseline im LVMI

Veränderung gegenüber Baseline im LVMI						
Gesamtpopulation (ITT)						
Visite	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Pegunigalsidase alfa	43	73,16 (31,50)	-	-	-
	Agalsidase beta	23	82,82 (29,19)			
Woche 52	Pegunigalsidase alfa	32	77,83 (34,24)	-0,01 (1,52) [-3,02; 3,01]	-3,99 (2,43) [-8,82; 0,83]	0,1035

Veränderung gegenüber Baseline im LVMi						
Gesamtpopulation (ITT)						
Visite	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	Agalsidase beta	21	86,90 (33,00)	3,99 (1,89) [0,23; 7,74]		

Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline

3.1.4.1.2 Veränderung gegenüber Baseline im LVMi bei Patienten mit Hypertrophie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im LVMi bei Patienten mit Hypertrophie zu Baseline						
Gesamtpopulation (ITT)						
Visite	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Pegunigalsidase alfa	11	115,05 (29,40)	-	-	-
	Agalsidase beta	9	108,09 (24,62)			
Woche 52	Pegunigalsidase alfa	10	118,78 (28,29)	-0,02 (3,53) [-7,26; 7,22]	-5,14 (5,27) [-15,92; 5,65]	0,3375
	Agalsidase beta	9	112,91 (30,52)	5,12 (3,85) [-2,77; 13,01]		

Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline

ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures

3.1.4.1.3 Veränderung gegenüber Baseline im LVMi bei Patienten ohne Hypertrophie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im LVMi bei Patienten ohne Hypertrophie zu Baseline						
Gesamtpopulation (ITT)						
Visite	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Pegunigalsidase alfa	27	59,37 (15,38)	-	-	-
	Agalsidase beta	13	64,30 (17,13)			
Woche 52	Pegunigalsidase alfa	22	59,21 (15,06)	0,03 (1,53) [-3,02; 3,09]	-3,73 (2,59) [-8,93; 1,46]	0,1554
	Agalsidase beta	12	67,39 (18,26)	3,77 (2,08) [-0,40; 7,94]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures						

3.1.5 Sicherheit: Endpunkte zu unerwünschten Ereignissen

3.1.5.1 UESI: Anti-Drug-Antikörper (ADA)

3.1.5.1.1 Patienten mit IgG-ADA zu Woche 52

Patienten mit IgG-ADA zu Woche 52						
Gesamtpopulation (Safety)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	47	13 (27,7)	0,95 [0,44; 2,06]	0,93 [0,31; 2,76]	-0,02 [-0,24; 0,21]	1,0000
Agalsidase beta	24	7 (29,2)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.1.5.1.2 Patienten mit neutralisierenden ADA zu Woche 52

Patienten mit neutralisierenden ADA zu Woche 52						
Gesamtpopulation (Safety)						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	13	8 (61,5)	0,72 [0,42; 1,21]	0,27 [0,02; 2,92]	-0,24 [-0,61; 0,13]	0,3544
Agalsidase beta	7	6 (85,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.2 Subgruppenanalysen (Subgruppen mit statistisch signifikantem Interaktionsterm)**3.2.1 Morbidität: Mainz Severity Score Index****3.2.1.1 Veränderung des MSSI-Scores gegenüber Baseline****3.2.1.1.1 Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score****3.2.1.1.1.1 Klassifizierung des Morbus Fabry**

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,0058							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	27	25,93 (9,58)	-	-	-
		Agalsidase beta	14	25,64 (10,46)			
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	25	20,80 (9,50)			
		Agalsidase beta	11	24,55 (11,52)			
Woche 52	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	20	27,05 (9,86)	1,09 (0,91) [-0,72; 2,90]	3,45 (1,43) [0,61; 6,29]	0,0178
		Agalsidase beta	14	23,29 (9,20)	-2,36 (1,10) [-4,55; -0,17]		

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,0058							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	Nicht- klassisch	Pegunigalsidase alfa	23	19,17 (11,11)	-1,98 (0,94) [-3,85; -0,11]	-2,74 (1,73) [-6,16; 0,68]	0,1156
		Agalsidase beta	9	25,33 (12,81)	0,76 (1,44) [-2,10; 3,61]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							

3.2.1.1.1.2 Geschlecht

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,0432							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Männlich	Pegunigalsidase alfa	29	26,07 (9,98)	-	-	-
		Agalsidase beta	18	27,39 (10,67)			
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	23	20,17 (8,70)			
		Agalsidase beta	7	19,43 (9,14)			
Woche 52	Männlich	Pegunigalsidase alfa	22	26,95 (10,09)	0,71 (0,86) [-0,99; 2,41]	2,35 (1,30) [-0,23; 4,93]	0,0738
		Agalsidase beta	17	25,18 (9,83)	-1,64 (0,98) [-3,58; 0,30]		
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	21	18,52 (10,78)	-1,93 (1,02) [-3,96; 0,10]	-2,66 (2,11) [-6,84; 1,53]	0,2102
		Agalsidase beta	6	21,00 (12,74)	0,73 (1,84) [-2,93; 4,38]		

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,0432							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.2.1.1.2 Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'kardiovaskulär'

3.2.1.1.2.1 ADA-Status zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'kardiovaskulär'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,0268							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Negativ	Pegunigalsidase alfa	34	5,24 (5,95)	-	-	-
		Agalsidase beta	17	6,65 (5,97)			
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	18	7,06 (4,89)			
		Agalsidase beta	8	8,00 (4,41)			
Woche 52	Negativ	Pegunigalsidase alfa	28	5,11 (5,59)	0,13 (0,36) [-0,57; 0,84]	-1,08 (0,60) [-2,27; 0,11]	0,0762
		Agalsidase beta	15	7,40 (5,79)	1,21 (0,48) [0,25; 2,16]		
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	15	8,00 (5,24)	0,69 (0,78) [-0,86; 2,25]	2,17 (1,34) [-0,50; 4,84]	0,1089
		Agalsidase beta	8	6,50 (5,26)	-1,48 (1,08) [-3,64; 0,68]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'kardiovaskulär'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,0268							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.2.1.1.2.2 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'kardiovaskulär'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,0152							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	33	5,30 (5,65)	-	-	-
		Agalsidase beta	19	6,37 (6,07)			
	> -5	Pegunigalsidase alfa	19	6,84 (5,60)			
		Agalsidase beta	6	9,33 (1,63)			
Woche 52	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	26	5,85 (5,54)	0,47 (0,40) [-0,32; 1,26]	-0,71 (0,63) [-1,95; 0,54]	0,2629
		Agalsidase beta	18	7,33 (5,92)	1,18 (0,49) [0,22; 2,14]		
	> -5	Pegunigalsidase alfa	17	6,53 (5,80)	0,12 (0,62) [-1,13; 1,36]	2,76 (1,28) [0,20; 5,33]	0,0350
		Agalsidase beta	5	6,20 (4,09)	-2,65 (1,12) [-4,88; -0,41]		
Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.2.1.1.3 Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'allgemein'

3.2.1.1.3.1 Klassifizierung des Morbus Fabry

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'allgemein'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,0176							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	27	7,30 (3,34)	-	-	-
		Agalsidase beta	14	7,36 (3,18)			
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	25	5,00 (2,20)			
		Agalsidase beta	11	6,36 (2,34)			
Woche 52	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	20	7,25 (3,78)	-0,32 (0,30) [-0,91; 0,26]	1,04 (0,47) [0,11; 1,96]	0,0285
		Agalsidase beta	14	6,00 (2,69)	-1,36 (0,36) [-2,07; -0,64]		
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	23	4,52 (2,19)	-0,48 (0,33) [-1,13; 0,17]	-0,80 (0,62) [-2,03; 0,42]	0,1967
		Agalsidase beta	9	6,67 (3,57)	0,32 (0,52) [-0,71; 1,35]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.2.1.1.4 Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'neurologisch'

3.2.1.1.4.1 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'neurologisch'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,0249							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Ja	Pegunigalsidase alfa	26	6,73 (3,78)	-	-	-
		Agalsidase beta	16	7,69 (4,32)			
	Nein	Pegunigalsidase alfa	26	8,23 (4,54)			
		Agalsidase beta	9	6,67 (5,79)			
Woche 52	Ja	Pegunigalsidase alfa	21	7,62 (4,27)	0,31 (0,49) [-0,65; 1,27]	1,62 (0,75) [0,14; 3,11]	0,0324
		Agalsidase beta	15	5,93 (4,25)	-1,32 (0,57) [-2,45; -0,18]		
	Nein	Pegunigalsidase alfa	22	7,18 (4,51)	-0,72 (0,53) [-1,77; 0,34]	-1,23 (1,03) [-3,28; 0,81]	0,2337
		Agalsidase beta	8	8,25 (5,18)	0,52 (0,88) [-1,23; 2,26]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.2.2 Morbidität: Veränderung des Schmerzerlebens gemessen anhand des BPI-SF**3.2.2.1 Veränderung der BPI-SF-Scores gegenüber Baseline****3.2.2.1.1 Veränderung gegenüber Baseline in 'durchschnittlicher Schmerz'**

3.2.2.1.1.1 eGFR-Kategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'durchschnittlicher Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,0280							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	28	1,86 (2,03)	-	-	-
		Agalsidase beta	11	2,00 (2,19)			
	≤60	Pegunigalsidase alfa	13	2,54 (1,61)			
		Agalsidase beta	8	3,38 (1,69)			
	>90	Pegunigalsidase alfa	11	2,91 (2,91)			
		Agalsidase beta	6	1,17 (1,17)			
Woche 52	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	26	1,92 (1,90)	0,23 (0,29) [-0,34; 0,81]	-0,79 (0,57) [-1,92; 0,34]	0,1690
		Agalsidase beta	9	2,78 (2,17)	1,02 (0,49) [0,05; 1,99]		
	≤60	Pegunigalsidase alfa	10	3,70 (2,75)	0,70 (0,48) [-0,26; 1,65]	1,65 (0,73) [0,19; 3,10]	0,0276
		Agalsidase beta	8	2,50 (2,00)	-0,95 (0,55) [-2,05; 0,15]		
	>90	Pegunigalsidase alfa	9	2,00 (2,29)	-0,61 (0,42) [-1,46; 0,24]	-0,24 (0,71) [-1,68; 1,20]	0,7372
		Agalsidase beta	6	1,00 (1,55)	-0,37 (0,56) [-1,49; 0,76]		

Veränderung gegenüber Baseline in 'durchschnittlicher Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,0280							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.2.2.1.2 Veränderung gegenüber Baseline in 'momentaner Schmerz'

3.2.2.1.2.1 Region

Veränderung gegenüber Baseline in 'momentaner Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,0086							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Europa	Pegunigalsidase alfa	19	2,11 (2,75)	-	-	-
		Agalsidase beta	7	0,71 (1,11)			
	USA	Pegunigalsidase alfa	33	1,67 (2,04)			
		Agalsidase beta	18	1,72 (2,59)			
Woche 52	Europa	Pegunigalsidase alfa	15	2,53 (2,90)	0,41 (0,38) [-0,36; 1,18]	1,30 (0,69) [-0,08; 2,68]	0,0651
		Agalsidase beta	7	0,00 (0,00)	-0,89 (0,57) [-2,02; 0,25]		
	USA	Pegunigalsidase alfa	30	1,10 (1,81)	-0,51 (0,28) [-1,05; 0,04]	-0,89 (0,46) [-1,80; 0,03]	0,0566
		Agalsidase beta	16	1,88 (2,31)	0,38 (0,37) [-0,35; 1,12]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							

Veränderung gegenüber Baseline in 'momentaner Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,0086							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.2.2.2 Responderanalysen für den BPI-SF-Score

3.2.2.2.1 Responderanalyse für Verschlechterung in 'momentaner Schmerz' (Woche 52)

3.2.2.2.1.1 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'momentaner Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,0311						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	28	9 (32,1)	1,93 [0,60; 6,18]	2,37 [0,54; 10,32]	0,15 [-0,09; 0,40]	0,3151
Agalsidase beta	18	3 (16,7)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	17	3 (17,6)	0,29 [0,08; 1,03]	0,14 [0,02; 1,26]	-0,42 [-0,89; 0,04]	0,1005
Agalsidase beta	5	3 (60,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.2.3 Morbidität: Veränderung des Gesundheitszustandes gemessen anhand der EQ-5D-5L-VAS

3.2.3.1 Veränderung der EQ-5D-5L-Scores gegenüber Baseline

3.2.3.1.1 Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS

3.2.3.1.1.1 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,0393							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	33	75,94 (20,23)	-	-	-
		Agalsidase beta	19	75,68 (15,09)			
	> -5	Pegunigalsidase alfa	19	72,21 (26,16)			
		Agalsidase beta	6	76,67 (14,02)			
Woche 52	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	28	75,00 (17,59)	-3,17 (2,57) [-8,24; 1,90]	-9,18 (4,12) [-17,32; -1,04]	0,0273
		Agalsidase beta	18	81,56 (16,22)	6,01 (3,22) [-0,36; 12,37]		
	> -5	Pegunigalsidase alfa	17	74,35 (18,22)	3,55 (3,21) [-2,86; 9,97]	6,65 (6,48) [-6,29; 19,60]	0,3086
		Agalsidase beta	5	75,40 (17,34)	-3,10 (5,62) [-14,33; 8,14]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.2.3.1.1.2 eGFR-Kategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS								
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,0385								
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert	
Baseline	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	28	78,86 (19,16)	-	-	-	
		Agalsidase beta	11	74,36 (15,34)				
	≤60	Pegunigalsidase alfa	13	77,85 (12,02)				
		Agalsidase beta	8	71,25 (15,29)				
	>90	Pegunigalsidase alfa	11	59,82 (33,01)				
		Agalsidase beta	6	85,00 (8,94)				
Woche 52	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	26	78,88 (15,09)	-0,14 (2,22) [-4,54; 4,27]	-6,69 (4,39) [-15,39; 2,01]	0,1303	
		Agalsidase beta	9	82,22 (11,76)	6,55 (3,78) [-0,93; 14,04]			
	≤60	Pegunigalsidase alfa	10	65,30 (14,60)	-9,57 (4,79) [-19,17; 0,03]	-14,39 (7,31) [-29,05; 0,27]	0,0543	
		Agalsidase beta	8	77,50 (21,21)	4,82 (5,48) [-6,17; 15,81]			
	>90	Pegunigalsidase alfa	9	73,33 (24,24)	9,89 (4,25) [1,31; 18,47]	10,74 (7,23) [-3,86; 25,34]	0,1453	
		Agalsidase beta	6	80,83 (17,14)	-0,84 (5,72) [-12,39; 10,71]			
	<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
	ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.2.4 Sicherheit: Endpunkte zu unerwünschten Ereignissen

3.2.4.1 UESI: Anti-Drug-Antikörper (ADA)

3.2.4.1.1 Patienten mit IgG-ADA zu Woche 52

3.2.4.1.1.1 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Patienten mit IgG-ADA zu Woche 52						
Subgruppe (Safety): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,0059						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	30	10 (33,3)	2,11 [0,67; 6,70]	2,67 [0,63; 11,35]	0,18 [-0,06; 0,41]	0,2054
Agalsidase beta	19	3 (15,8)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	17	3 (17,6)	0,22 [0,07; 0,67]	0,05 [0,00; 0,67]	-0,62 [-1,02; -0,23]	0,0207
Agalsidase beta	5	4 (80,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3 Subgruppenanalysen (Subgruppen ohne statistisch signifikanten Interaktionsterm)

3.3.1 Morbidität: Mainz Severity Score Index

3.3.1.1 Veränderung des MSSI-Scores gegenüber Baseline

3.3.1.1.1 Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score

3.3.1.1.1.1 ADA-Status zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,1099							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Negativ	Pegunigalsidase alfa	34	20,53 (9,52)	-	-	-

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,1099							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	Positiv	Agalsidase beta	17	24,00 (11,08)			
		Pegunigalsidase alfa	18	29,00 (7,91)			
		Agalsidase beta	8	27,62 (10,13)			
Woche 52	Negativ	Pegunigalsidase alfa	28	18,89 (10,63)	-1,08 (0,86) [-2,77; 0,61]	-0,82 (1,45) [-3,67; 2,04]	0,5724
		Agalsidase beta	15	23,47 (10,54)	-0,26 (1,16) [-2,55; 2,03]		
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	15	30,20 (8,15)	0,52 (1,17) [-1,80; 2,85]	3,11 (1,99) [-0,85; 7,07]	0,1218
		Agalsidase beta	8	25,25 (11,11)	-2,59 (1,60) [-5,78; 0,61]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.1.1.1.2 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,5784							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	33	23,70 (9,99)	-	-	-
		Agalsidase beta	19	24,79 (11,76)			
	> -5	Pegunigalsidase alfa	19	23,05 (9,72)			

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,5784							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	6	26,33 (7,12)			
Woche 52	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	26	23,88 (11,53)	-0,08 (0,87) [-1,80; 1,63]	0,24 (1,37) [-2,46; 2,93]	0,8618
		Agalsidase beta	18	24,94 (11,31)	-0,32 (1,05) [-2,40; 1,76]		
	> -5	Pegunigalsidase alfa	17	21,24 (10,70)	-1,56 (1,16) [-3,88; 0,76]	1,76 (2,38) [-2,99; 6,51]	0,4614
		Agalsidase beta	5	21,00 (7,07)	-3,32 (2,08) [-7,46; 0,82]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.1.1.1.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,5357							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	28	20,71 (9,95)	-	-	-
		Agalsidase beta	11	24,09 (8,22)			
	≤60	Pegunigalsidase alfa	13	29,15 (7,67)			
		Agalsidase beta	8	33,75 (7,63)			
	>90	Pegunigalsidase alfa	11	23,73 (9,41)			

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,5357							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	6	15,67 (10,29)			
Woche 52	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	25	19,32 (11,57)	-1,10 (1,07) [-3,22; 1,01]	-1,25 (2,02) [-5,25; 2,75]	0,5373
		Agalsidase beta	9	23,78 (8,80)	0,15 (1,71) [-3,24; 3,53]		
	≤60	Pegunigalsidase alfa	9	30,11 (8,82)	0,29 (1,38) [-2,49; 3,07]	1,38 (2,06) [-2,75; 5,52]	0,5045
		Agalsidase beta	8	32,00 (7,86)	-1,09 (1,51) [-4,12; 1,94]		
	>90	Pegunigalsidase alfa	9	25,33 (8,31)	-0,45 (1,15) [-2,76; 1,86]	1,57 (1,89) [-2,25; 5,39]	0,4108
		Agalsidase beta	6	14,00 (7,38)	-2,02 (1,46) [-4,97; 0,92]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.1.1.1.4 Region

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,4248							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Europa	Pegunigalsidase alfa	19	25,47 (11,37)	-	-	-
		Agalsidase beta	7	26,43 (11,69)			

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,4248							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Woche 52	USA	Pegunigalsidase alfa	33	22,30 (8,74)			
		Agalsidase beta	18	24,67 (10,63)			
	Europa	Pegunigalsidase alfa	15	25,07 (12,90)	-1,68 (1,03) [-3,75; 0,38]	-0,85 (1,89) [-4,61; 2,92]	0,6553
		Agalsidase beta	7	25,57 (10,33)	-0,84 (1,58) [-3,99; 2,31]		
	USA	Pegunigalsidase alfa	28	21,64 (10,16)	0,00 (0,92) [-1,82; 1,81]	1,08 (1,51) [-1,90; 4,07]	0,4745
		Agalsidase beta	16	23,44 (10,87)	-1,09 (1,20) [-3,45; 1,28]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.1.1.1.5 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,1053							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Ja	Pegunigalsidase alfa	26	25,54 (8,69)	-	-	-
		Agalsidase beta	16	29,50 (9,24)			
	Nein	Pegunigalsidase alfa	26	21,38 (10,55)			
		Agalsidase beta	9	17,44 (8,93)			

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,1053							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Woche 52	Ja	Pegunigalsidase alfa	21	25,95 (10,39)	0,79 (0,99) [-1,18; 2,75]	2,24 (1,54) [-0,81; 5,29]	0,1495
		Agalsidase beta	15	27,40 (9,22)	-1,45 (1,17) [-3,77; 0,87]		
	Nein	Pegunigalsidase alfa	22	19,86 (11,28)	-1,95 (0,95) [-3,82; -0,07]	-1,65 (1,84) [-5,29; 1,99]	
		Agalsidase beta	8	17,88 (10,51)	-0,30 (1,57) [-3,41; 2,81]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.1.1.2 Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'kardiovaskulär'

3.3.1.1.2.1 eGFR-Kategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'kardiovaskulär'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,5995							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	28	4,71 (5,21)	-	-	-
		Agalsidase beta	11	7,18 (4,79)			
	≤60	Pegunigalsidase alfa	13	8,15 (5,81)			
		Agalsidase beta	8	10,12 (5,64)			
	>90	Pegunigalsidase alfa	11	6,09 (6,07)			

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'kardiovaskulär'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,5995							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	6	2,83 (4,02)			
Woche 52	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	25	4,72 (5,46)	0,09 (0,54) [-0,97; 1,16]	-0,16 (1,03) [-2,20; 1,88]	0,8773
		Agalsidase beta	9	6,78 (4,89)	0,25 (0,88) [-1,48; 1,99]		
	≤60	Pegunigalsidase alfa	9	8,67 (4,64)	1,11 (0,79) [-0,48; 2,71]	0,18 (1,18) [-2,20; 2,56]	0,8795
		Agalsidase beta	8	11,00 (4,99)	0,93 (0,88) [-0,83; 2,70]		
	>90	Pegunigalsidase alfa	9	7,44 (6,13)	0,32 (0,53) [-0,75; 1,39]	1,16 (0,90) [-0,65; 2,97]	0,2026
		Agalsidase beta	6	2,33 (2,94)	-0,84 (0,71) [-2,27; 0,58]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.1.1.2.2 Klassifizierung des Morbus Fabry

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'kardiovaskulär'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,7875							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	27	6,81 (5,53)	-	-	-
		Agalsidase beta	14	6,29 (4,20)			

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'kardiovaskulär'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,7875							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Woche 52	Nicht- klassisch	Pegunigalsidase alfa	25	4,84 (5,66)			
		Agalsidase beta	11	8,09 (6,83)			
	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	20	6,90 (4,89)	0,52 (0,63) [-0,73; 1,77]	0,24 (1,00) [-1,75; 2,22]	0,8130
		Agalsidase beta	14	6,57 (4,03)	0,28 (0,78) [-1,26; 1,82]		
	Nicht- klassisch	Pegunigalsidase alfa	23	5,43 (6,16)	0,20 (0,37) [-0,53; 0,93]	-0,09 (0,67) [-1,42; 1,24]	0,8966
		Agalsidase beta	9	7,89 (7,47)	0,29 (0,56) [-0,82; 1,39]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.1.1.2.3 Region

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'kardiovaskulär'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,5105							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Europa	Pegunigalsidase alfa	19	7,21 (7,00)	-	-	-
		Agalsidase beta	7	8,86 (6,31)			
	USA	Pegunigalsidase alfa	33	5,09 (4,60)			
		Agalsidase beta	18	6,39 (5,12)			

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'kardiovaskulär'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,5105							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Woche 52	Europa	Pegunigalsidase alfa	15	8,00 (7,16)	0,28 (0,38) [-0,49; 1,05]	-0,57 (0,72) [-2,00; 0,86]	0,4288
		Agalsidase beta	7	9,71 (5,91)	0,85 (0,60) [-0,35; 2,06]		
	USA	Pegunigalsidase alfa	28	5,11 (4,35)	0,28 (0,51) [-0,73; 1,30]	0,16 (0,85) [-1,51; 1,83]	
		Agalsidase beta	16	5,94 (5,09)	0,12 (0,67) [-1,20; 1,44]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.1.1.2.4 Geschlecht

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'kardiovaskulär'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,8135							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Männlich	Pegunigalsidase alfa	29	6,76 (5,44)	-	-	-
		Agalsidase beta	18	7,89 (4,99)			
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	23	4,74 (5,78)			
		Agalsidase beta	7	5,00 (6,45)			
Woche 52	Männlich	Pegunigalsidase alfa	22	7,00 (5,01)	0,55 (0,58) [-0,61; 1,70]	0,17 (0,90) [-1,60; 1,95]	0,8459

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'kardiovaskulär'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,8135							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	17	8,00 (5,04)	0,37 (0,68) [-0,97; 1,71]		
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	21	5,19 (6,11)	0,07 (0,38) [-0,69; 0,84]	-0,11 (0,79) [-1,68; 1,47]	0,8921
		Agalsidase beta	6	4,50 (6,44)	0,18 (0,69) [-1,20; 1,56]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.1.1.2.5 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'kardiovaskulär'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,6796							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Ja	Pegunigalsidase alfa	26	7,77 (5,72)	-	-	-
		Agalsidase beta	16	8,50 (4,99)			
	Nein	Pegunigalsidase alfa	26	3,96 (4,93)			
		Agalsidase beta	9	4,56 (5,61)			
Woche 52	Ja	Pegunigalsidase alfa	21	7,76 (5,05)	0,57 (0,57) [-0,56; 1,71]	-0,14 (0,89) [-1,90; 1,62]	0,8730
		Agalsidase beta	15	9,00 (4,80)	0,71 (0,68) [-0,63; 2,05]		

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'kardiovaskulär'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,6796							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	Nein	Pegunigalsidase alfa	22	4,55 (5,73)	0,02 (0,44) [-0,85; 0,90]	0,37 (0,86) [-1,33; 2,06]	0,6688
		Agalsidase beta	8	3,50 (5,18)	-0,34 (0,73) [-1,80; 1,11]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.1.1.2.6 UPCR-Kategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'kardiovaskulär'							
Subgruppe (ITT): UPCR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,4562							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	0,5 < und < 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	9	8,11 (5,90)	-	-	-
		Agalsidase beta	2	1,50 (0,71)			
	≤ 0,5 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	36	5,11 (5,59)			
		Agalsidase beta	20	7,30 (5,40)			
	≥ 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	7	6,86 (5,27)			
		Agalsidase beta	3	9,33 (6,43)			
Woche 52	0,5 < und < 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	6	6,83 (5,00)	0,76 (1,04) [-1,49; 3,02]	-1,91 (2,19) [-6,64; 2,82]	0,3978
Agalsidase beta		2	4,50 (4,95)	2,68 (1,88) [-1,38; 6,74]			

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'kardiovaskulär'							
Subgruppe (ITT): UPCR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,4562							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	≤ 0,5 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	31	5,77 (5,74)	0,41 (0,44) [-0,45; 1,27]	0,52 (0,72) [-0,90; 1,94]	0,4743
		Agalsidase beta	18	6,78 (5,77)	-0,11 (0,57) [-1,24; 1,01]		
	≥ 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	6	7,17 (6,05)	-0,22 (1,31) [-2,97; 2,53]	-1,33 (2,27) [-6,10; 3,45]	0,5668
		Agalsidase beta	3	10,67 (3,51)	1,11 (1,85) [-2,79; 5,00]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.1.1.3 Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'allgemein'

3.3.1.1.3.1 ADA-Status zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'allgemein'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,4913							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Negativ	Pegunigalsidase alfa	34	5,06 (2,53)	-	-	-
		Agalsidase beta	17	5,88 (2,12)			
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	18	8,33 (2,83)			
		Agalsidase beta	8	9,12 (3,00)			
Woche 52	Negativ	Pegunigalsidase alfa	28	4,68 (2,68)	-0,28 (0,27) [-0,80; 0,25]	0,04 (0,45) [-0,85; 0,94]	0,9233

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'allgemein'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,4913							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	15	5,47 (3,04)	-0,32 (0,36) [-1,04; 0,40]		
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	15	7,87 (3,42)	-0,72 (0,43) [-1,58; 0,14]	0,64 (0,74) [-0,83; 2,11]	0,3886
		Agalsidase beta	8	7,75 (2,43)	-1,36 (0,60) [-2,55; -0,17]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.1.1.3.2 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'allgemein'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,5589							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	33	6,33 (3,06)	-	-	-
		Agalsidase beta	19	6,58 (2,99)			
	> -5	Pegunigalsidase alfa	19	5,95 (3,10)			
		Agalsidase beta	6	8,00 (2,10)			
Woche 52	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	26	6,12 (3,48)	-0,22 (0,30) [-0,82; 0,37]	0,27 (0,47) [-0,66; 1,20]	0,5679
Agalsidase beta		18	6,22 (3,28)	-0,49 (0,36) [-1,21; 0,22]			

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'allgemein'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,5589							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	> -5	Pegunigalsidase alfa	17	5,29 (3,04)	-0,66 (0,32) [-1,30; -0,02]	0,74 (0,65) [-0,56; 2,05]	0,2609
		Agalsidase beta	5	6,40 (1,95)	-1,40 (0,57) [-2,53; -0,27]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.1.1.3.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'allgemein'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,2457							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	28	5,39 (3,41)	-	-	-
		Agalsidase beta	11	6,45 (2,46)			
	≤60	Pegunigalsidase alfa	13	7,38 (1,71)			
		Agalsidase beta	8	9,12 (2,53)			
	>90	Pegunigalsidase alfa	11	6,82 (2,89)			
		Agalsidase beta	6	4,83 (1,94)			
Woche 52	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	25	5,12 (3,54)	-0,17 (0,31) [-0,77; 0,44]	-0,12 (0,58) [-1,28; 1,03]	0,8358
Agalsidase beta		9	6,56 (2,83)	-0,05 (0,50) [-1,03; 0,94]			

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'allgemein'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,2457							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	≤60	Pegunigalsidase alfa	9	7,33 (2,60)	-0,02 (0,56) [-1,15; 1,11]	1,41 (0,84) [-0,29; 3,10]	0,1024
		Agalsidase beta	8	7,75 (2,87)	-1,42 (0,60) [-2,63; -0,22]		
	>90	Pegunigalsidase alfa	9	6,11 (2,93)	-1,27 (0,38) [-2,04; -0,49]	-0,25 (0,65) [-1,56; 1,06]	
		Agalsidase beta	6	3,83 (2,14)	-1,02 (0,51) [-2,04; 0,01]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.1.1.3.4 Region

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'allgemein'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,2653							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Europa	Pegunigalsidase alfa	19	6,00 (3,04)	-	-	-
		Agalsidase beta	7	6,43 (1,51)			
	USA	Pegunigalsidase alfa	33	6,30 (3,10)			
		Agalsidase beta	18	7,11 (3,22)			
Woche 52	Europa	Pegunigalsidase alfa	15	5,33 (3,20)	-0,71 (0,36) [-1,42; 0,01]	-0,32 (0,66) [-1,64; 1,00]	0,6340

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'allgemein'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,2653							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	7	6,00 (2,08)	-0,39 (0,56) [-1,50; 0,72]		
	USA	Pegunigalsidase alfa	28	6,04 (3,38)	-0,22 (0,29) [-0,80; 0,36]	0,60 (0,48) [-0,36; 1,55]	0,2197
		Agalsidase beta	16	6,38 (3,38)	-0,82 (0,39) [-1,58; -0,06]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.1.1.3.5 Geschlecht

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'allgemein'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,0807							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Männlich	Pegunigalsidase alfa	29	7,17 (3,27)	-	-	-
		Agalsidase beta	18	7,61 (2,87)			
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	23	4,96 (2,25)			
		Agalsidase beta	7	5,14 (1,86)			
Woche 52	Männlich	Pegunigalsidase alfa	22	6,91 (3,77)	-0,47 (0,30) [-1,07; 0,13]	0,67 (0,46) [-0,24; 1,59]	0,1468
Agalsidase beta		17	6,41 (2,62)	-1,15 (0,35) [-1,83; -0,46]			

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'allgemein'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,0807							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	21	4,62 (2,27)	-0,31 (0,34) [-0,99; 0,37]	-0,82 (0,72) [-2,24; 0,61]	0,2584
		Agalsidase beta	6	5,83 (4,17)	0,51 (0,63) [-0,75; 1,76]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.1.1.3.6 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'allgemein'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,1223							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Ja	Pegunigalsidase alfa	26	6,58 (2,83)	-	-	-
		Agalsidase beta	16	8,06 (2,77)			
	Nein	Pegunigalsidase alfa	26	5,81 (3,26)			
		Agalsidase beta	9	4,89 (1,54)			
Woche 52	Ja	Pegunigalsidase alfa	21	6,57 (3,17)	0,01 (0,32) [-0,62; 0,64]	0,88 (0,49) [-0,10; 1,85]	0,0767
		Agalsidase beta	15	7,13 (2,61)	-0,87 (0,37) [-1,61; -0,13]		
	Nein	Pegunigalsidase alfa	22	5,05 (3,32)	-0,79 (0,33) [-1,45; -0,13]	-0,38 (0,65) [-1,66; 0,90]	0,5621

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'allgemein'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,1223							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	8	4,62 (3,16)	-0,42 (0,55) [-1,51; 0,68]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.1.1.3.7 UPCR-Kategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'allgemein'							
Subgruppe (ITT): UPCR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,0002							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	0,5 < und < 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	9	6,11 (2,03)	-	-	-
		Agalsidase beta	2	4,50 (0,71)			
	≤ 0,5 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	36	6,00 (3,29)			
		Agalsidase beta	20	7,05 (2,98)			
	≥ 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	7	7,29 (2,98)			
		Agalsidase beta	3	7,67 (2,08)			
Woche 52	0,5 < und < 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	6	4,67 (1,97)	-1,23 (0,60) [-2,52; 0,07]	-1,18 (1,23) [-3,83; 1,47]	0,3544
		Agalsidase beta	2	5,00 (0,00)	-0,05 (1,07) [-2,36; 2,26]		
	≤ 0,5 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	31	5,48 (3,44)	-0,51 (0,26) [-1,01; 0,00]	0,07 (0,43) [-0,76; 0,91]	0,8626

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'allgemein'							
Subgruppe (ITT): UPCR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,0002							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	18	6,56 (3,17)	-0,58 (0,34) [-1,24; 0,09]		
	≥ 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	6	8,50 (2,35)	0,83 (0,40) [-0,02; 1,68]	3,17 (0,70) [1,69; 4,64]	0,0003
		Agalsidase beta	3	5,33 (3,21)	-2,33 (0,57) [-3,54; -1,13]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.1.1.4 Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'neurologisch'

3.3.1.1.4.1 ADA-Status zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'neurologisch'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,8948							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Negativ	Pegunigalsidase alfa	34	6,71 (3,69)	-	-	-
		Agalsidase beta	17	7,24 (4,59)			
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	18	8,94 (4,81)			
		Agalsidase beta	8	7,50 (5,55)			
Woche 52	Negativ	Pegunigalsidase alfa	28	6,11 (3,96)	-0,59 (0,51) [-1,60; 0,43]	0,23 (0,87) [-1,48; 1,94]	0,7902
		Agalsidase beta	15	6,33 (4,20)	-0,82 (0,70) [-2,19; 0,56]		

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'neurologisch'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,8948							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	15	9,80 (4,13)	0,25 (0,43) [-0,61; 1,11]	0,38 (0,74) [-1,09; 1,85]	0,6063
		Agalsidase beta	8	7,50 (5,53)	-0,13 (0,59) [-1,32; 1,05]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.1.1.4.2 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'neurologisch'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,1761							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	33	7,70 (4,23)	-	-	-
		Agalsidase beta	19	7,42 (4,98)			
	> -5	Pegunigalsidase alfa	19	7,11 (4,24)			
		Agalsidase beta	6	7,00 (4,60)			
Woche 52	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	26	7,62 (4,68)	-0,19 (0,56) [-1,29; 0,91]	0,75 (0,87) [-0,98; 2,47]	0,3950
		Agalsidase beta	18	6,94 (4,71)	-0,94 (0,67) [-2,26; 0,39]		
	> -5	Pegunigalsidase alfa	17	7,06 (3,90)	-0,34 (0,38) [-1,11; 0,42]	-0,83 (0,77) [-2,37; 0,71]	

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'neurologisch'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,1761							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	5	6,00 (4,69)	0,49 (0,67) [-0,85; 1,83]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.1.1.4.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'neurologisch'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,4111							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	28	6,89 (4,29)	-	-	-
		Agalsidase beta	11	7,18 (5,46)			
	≤60	Pegunigalsidase alfa	13	7,77 (4,49)			
		Agalsidase beta	8	8,50 (4,96)			
	>90	Pegunigalsidase alfa	11	8,64 (3,70)			
		Agalsidase beta	6	6,00 (3,52)			
Woche 52	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	25	6,44 (4,69)	-0,41 (0,49) [-1,39; 0,57]	-0,18 (0,93) [-2,03; 1,66]	0,8446
		Agalsidase beta	9	6,89 (5,49)	-0,23 (0,79) [-1,79; 1,33]		
	≤60	Pegunigalsidase alfa	9	8,78 (3,77)	-0,19 (0,77) [-1,74; 1,35]	1,55 (1,14) [-0,73; 3,84]	0,1780

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'neurologisch'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,4111							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	8	6,75 (4,98)	-1,75 (0,84) [-3,43; -0,07]		
	>90	Pegunigalsidase alfa	9	8,67 (3,50)	-0,06 (0,94) [-1,96; 1,84]	-0,53 (1,53) [-3,63; 2,56]	0,7303
		Agalsidase beta	6	6,50 (3,27)	0,47 (1,20) [-1,95; 2,90]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.1.1.4.4 Klassifizierung des Morbus Fabry

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'neurologisch'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,0554							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	27	7,22 (4,54)	-	-	-
		Agalsidase beta	14	7,14 (4,55)			
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	25	7,76 (3,88)			
		Agalsidase beta	11	7,55 (5,32)			
Woche 52	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	20	8,30 (4,62)	0,47 (0,50) [-0,51; 1,45]	1,49 (0,78) [-0,05; 3,03]	0,0582
		Agalsidase beta	14	6,14 (4,40)	-1,03 (0,60) [-2,22; 0,17]		

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'neurologisch'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,0554							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	Nicht- klassisch	Pegunigalsidase alfa	23	6,61 (4,03)	-0,90 (0,55) [-2,00; 0,19]	-0,94 (1,00) [-2,92; 1,04]	0,3500
		Agalsidase beta	9	7,67 (5,05)	0,04 (0,83) [-1,62; 1,69]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.1.1.4.5 Region

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'neurologisch'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,2794							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Europa	Pegunigalsidase alfa	19	7,21 (5,09)	-	-	-
		Agalsidase beta	7	6,57 (5,13)			
	USA	Pegunigalsidase alfa	33	7,64 (3,67)			
		Agalsidase beta	18	7,61 (4,79)			
Woche 52	Europa	Pegunigalsidase alfa	15	6,67 (4,92)	-1,02 (0,62) [-2,25; 0,21]	1,50 (1,11) [-0,72; 3,72]	0,1832
		Agalsidase beta	7	4,14 (3,39)	-2,52 (0,93) [-4,37; -0,67]		
	USA	Pegunigalsidase alfa	28	7,79 (4,05)	0,19 (0,43) [-0,67; 1,04]	0,07 (0,70) [-1,32; 1,46]	

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'neurologisch'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,2794							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	16	7,88 (4,70)	0,11 (0,56) [-0,99; 1,21]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.1.1.4.6 Geschlecht

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'neurologisch'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,2113							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Männlich	Pegunigalsidase alfa	29	7,59 (4,74)	-	-	-
		Agalsidase beta	18	7,22 (4,60)			
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	23	7,35 (3,51)			
		Agalsidase beta	7	7,57 (5,68)			
Woche 52	Männlich	Pegunigalsidase alfa	22	8,50 (4,51)	0,26 (0,47) [-0,67; 1,19]	1,10 (0,72) [-0,32; 2,52]	0,1268
		Agalsidase beta	17	6,06 (4,23)	-0,84 (0,54) [-1,91; 0,23]		
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	21	6,24 (3,95)	-0,85 (0,61) [-2,05; 0,35]	-0,69 (1,24) [-3,16; 1,78]	0,5788
		Agalsidase beta	6	8,67 (5,50)	-0,16 (1,08) [-2,31; 2,00]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'neurologisch'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,2113							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.1.1.5 Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'renal'

3.3.1.1.5.1 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'renal'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,4575							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	33	4,36 (3,22)	-	-	-
		Agalsidase beta	19	4,42 (3,24)			
	> -5	Pegunigalsidase alfa	19	3,16 (3,15)			
		Agalsidase beta	6	2,00 (2,19)			
Woche 52	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	26	4,31 (3,18)	-0,24 (0,40) [-1,04; 0,55]	-0,32 (0,63) [-1,57; 0,93]	0,6121
		Agalsidase beta	18	4,44 (3,03)	0,08 (0,49) [-0,89; 1,04]		
	> -5	Pegunigalsidase alfa	17	2,35 (2,85)	-0,60 (0,46) [-1,52; 0,31]	-1,17 (0,95) [-3,07; 0,73]	0,2232
		Agalsidase beta	5	2,40 (2,19)	0,57 (0,83) [-1,09; 2,23]		
Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.1.1.5.2 Klassifizierung des Morbus Fabry

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'renal'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,0634							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	27	4,59 (2,87)	-	-	-
		Agalsidase beta	14	4,86 (3,21)			
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	25	3,20 (3,46)			
		Agalsidase beta	11	2,55 (2,70)			
Woche 52	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	20	4,60 (2,68)	0,22 (0,34) [-0,45; 0,89]	0,42 (0,53) [-0,63; 1,48]	0,4309
		Agalsidase beta	14	4,57 (3,08)	-0,20 (0,41) [-1,02; 0,62]		
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	23	2,61 (3,33)	-0,78 (0,46) [-1,68; 0,12]	-1,41 (0,83) [-3,06; 0,24]	0,0923
		Agalsidase beta	9	3,11 (2,67)	0,64 (0,70) [-0,74; 2,01]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.1.1.5.3 Region

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'renal'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,4264							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Europa	Pegunigalsidase alfa	19	5,05 (3,49)	-	-	-
		Agalsidase beta	7	4,57 (3,60)			

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'renal'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,4264							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Woche 52	USA	Pegunigalsidase alfa	33	3,27 (2,91)			
		Agalsidase beta	18	3,56 (3,03)			
	Europa	Pegunigalsidase alfa	15	5,07 (3,53)	-0,11 (0,51) [-1,13; 0,90]	-1,22 (0,93) [-3,08; 0,64]	0,1947
		Agalsidase beta	7	5,71 (2,14)	1,11 (0,78) [-0,45; 2,67]		
	USA	Pegunigalsidase alfa	28	2,71 (2,68)	-0,49 (0,36) [-1,20; 0,22]	-0,35 (0,59) [-1,50; 0,81]	0,5552
		Agalsidase beta	16	3,25 (3,00)	-0,14 (0,46) [-1,06; 0,77]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.1.1.5.4 Geschlecht

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'renal'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,2354							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Männlich	Pegunigalsidase alfa	29	4,55 (2,97)	-	-	-
		Agalsidase beta	18	4,67 (3,14)			
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	23	3,13 (3,40)			
		Agalsidase beta	7	1,71 (2,14)			

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'renal'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,2354							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Woche 52	Männlich	Pegunigalsidase alfa	22	4,55 (2,84)	0,22 (0,32) [-0,41; 0,85]	0,17 (0,49) [-0,79; 1,13]	0,7293
		Agalsidase beta	17	4,71 (2,91)	0,05 (0,37) [-0,68; 0,77]		
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	21	2,48 (3,22)	-0,81 (0,50) [-1,81; 0,19]	-1,20 (1,04) [-3,26; 0,87]	
		Agalsidase beta	6	2,00 (2,19)	0,38 (0,91) [-1,42; 2,18]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.1.1.5.5 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'renal'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,8190							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Ja	Pegunigalsidase alfa	26	4,46 (2,85)	-	-	-
		Agalsidase beta	16	5,25 (2,82)			
	Nein	Pegunigalsidase alfa	26	3,38 (3,52)			
		Agalsidase beta	9	1,33 (2,00)			
Woche 52	Ja	Pegunigalsidase alfa	21	4,00 (2,83)	-0,08 (0,34) [-0,75; 0,59]	-0,18 (0,52) [-1,21; 0,86]	0,7337

Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'renal'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,8190							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	15	5,33 (2,47)	0,10 (0,40) [-0,69; 0,88]		
	Nein	Pegunigalsidase alfa	22	3,09 (3,48)	-0,49 (0,53) [-1,53; 0,55]	-0,44 (1,03) [-2,48; 1,60]	0,6681
		Agalsidase beta	8	1,50 (2,07)	-0,05 (0,87) [-1,78; 1,68]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.1.2 Responderanalysen für den MSSI-Score

3.3.1.2.1 Mainz Severity Score Index (MSSI) < 20 (Woche 52)

3.3.1.2.1.1 Geschlecht

Mainz Severity Score Index (MSSI) < 20 (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,5801						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	21	13 (61,9)	1,24 [0,52; 2,95]	1,62 [0,26; 10,10]	0,12 [-0,33; 0,57]	0,6618
Agalsidase beta	6	3 (50,0)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	24	6 (25,0)	0,85 [0,31; 2,34]	0,80 [0,20; 3,22]	-0,04 [-0,32; 0,23]	1,0000
Agalsidase beta	17	5 (29,4)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.1.2.1.2 Region

Mainz Severity Score Index (MSSI) < 20 (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,8051						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	15	6 (40,0)	1,40 [0,37; 5,27]	1,67 [0,24; 11,58]	0,11 [-0,30; 0,53]	1,0000
Agalsidase beta	7	2 (28,6)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	30	13 (43,3)	1,16 [0,54; 2,45]	1,27 [0,37; 4,42]	0,06 [-0,24; 0,35]	0,7618
Agalsidase beta	16	6 (37,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.1.2.1.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Mainz Severity Score Index (MSSI) < 20 (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,0503						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤60						
Pegunigalsidase alfa	9	2 (22,2)	0,27 [0,07; 0,95]	0,06 [0,00; 0,82]	-0,61 [-1,01; -0,21]	0,0406
Agalsidase beta	6	5 (83,3)				
>90						
Pegunigalsidase alfa	26	16 (61,5)	1,85 [0,70; 4,88]	3,20 [0,65; 15,78]	0,28 [-0,08; 0,64]	0,2453
Agalsidase beta	9	3 (33,3)				
60 < und ≤ 90						
Pegunigalsidase alfa	10	1 (10,0)	2,45 [0,11; 53,25]	2,68 [0,10; 75,12]	0,10 [-0,09; 0,29]	1,0000
Agalsidase beta	8	0 (0,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.1.2.1.4 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Mainz Severity Score Index (MSSI) < 20 (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,3507						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	28	11 (39,3)	1,41 [0,59; 3,40]	1,68 [0,47; 6,05]	0,12 [-0,16; 0,39]	0,5326
Agalsidase beta	18	5 (27,8)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	17	8 (47,1)	0,78 [0,33; 1,88]	0,59 [0,08; 4,50]	-0,13 [-0,62; 0,36]	1,0000
Agalsidase beta	5	3 (60,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.1.2.1.5 Klassifizierung des Morbus Fabry

Mainz Severity Score Index (MSSI) < 20 (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,1489						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	22	5 (22,7)	0,64 [0,22; 1,81]	0,53 [0,12; 2,32]	-0,13 [-0,44; 0,18]	0,4619
Agalsidase beta	14	5 (35,7)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	23	14 (60,9)	1,83 [0,69; 4,87]	3,11 [0,62; 15,71]	0,28 [-0,09; 0,64]	0,2433
Agalsidase beta	9	3 (33,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.1.2.1.6 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Mainz Severity Score Index (MSSI) < 20 (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,2517						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	22	13 (59,1)	0,79 [0,46; 1,34]	0,48 [0,08; 2,95]	-0,16 [-0,52; 0,20]	0,6722
Agalsidase beta	8	6 (75,0)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	23	6 (26,1)	1,96 [0,45; 8,44]	2,29 [0,40; 13,28]	0,13 [-0,12; 0,38]	0,4398
Agalsidase beta	15	2 (13,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.1.2.1.7 ADA-Status zu Baseline

Mainz Severity Score Index (MSSI) < 20 (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,0635						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	29	17 (58,6)	1,76 [0,81; 3,83]	2,83 [0,77; 10,43]	0,25 [-0,05; 0,55]	0,2027
Agalsidase beta	15	5 (33,3)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	16	2 (12,5)	0,33 [0,07; 1,61]	0,24 [0,03; 1,87]	-0,25 [-0,62; 0,12]	0,2885
Agalsidase beta	8	3 (37,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.1.2.2 Mainz Severity Score Index (MSSI) \leq 40 (Woche 52)

3.3.1.2.2.1 Geschlecht

Mainz Severity Score Index (MSSI) \leq 40 (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,8296						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	21	20 (95,2)	1,00 [0,79; 1,27]	1,05 [0,04; 29,08]	-0,05 [-0,14; 0,04]	1,0000
Agalsidase beta	6	6 (100,0)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	24	22 (91,7)	1,04 [0,84; 1,28]	1,47 [0,19; 11,59]	0,03 [-0,15; 0,22]	1,0000
Agalsidase beta	17	15 (88,2)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.1.2.2.2 Region

Mainz Severity Score Index (MSSI) \leq 40 (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,9214						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	15	13 (86,7)	1,01 [0,70; 1,45]	1,08 [0,08; 14,41]	0,01 [-0,30; 0,32]	1,0000
Agalsidase beta	7	6 (85,7)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	30	29 (96,7)	1,03 [0,89; 1,19]	1,93 [0,11; 33,12]	0,03 [-0,11; 0,16]	1,0000
Agalsidase beta	16	15 (93,8)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.1.2.2.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Mainz Severity Score Index (MSSI) ≤ 40 (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,6497						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤60						
Pegunigalsidase alfa	9	9 (100,0)	1,00 [1,00; 1,00]	-	0,00 [0,00; 0,00]	1,0000
Agalsidase beta	6	6 (100,0)				
>90						
Pegunigalsidase alfa	26	24 (92,3)	0,96 [0,79; 1,15]	0,52 [0,02; 11,77]	-0,08 [-0,18; 0,03]	1,0000
Agalsidase beta	9	9 (100,0)				
60 < und ≤ 90						
Pegunigalsidase alfa	10	9 (90,0)	1,20 [0,76; 1,88]	3,00 [0,22; 40,93]	0,15 [-0,20; 0,50]	1,0000
Agalsidase beta	8	6 (75,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.1.2.2.4 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Mainz Severity Score Index (MSSI) ≤ 40 (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 1,0000						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	28	25 (89,3)	1,00 [0,82; 1,24]	1,04 [0,16; 6,94]	0,00 [-0,18; 0,19]	1,0000
Agalsidase beta	18	16 (88,9)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	17	17 (100,0)	1,00 [1,00; 1,00]	1,00 [1,00; 1,00]	0,00 [0,00; 0,00]	1,0000
Agalsidase beta	5	5 (100,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.1.2.2.5 Klassifizierung des Morbus Fabry

Mainz Severity Score Index (MSSI) ≤ 40 (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,5570						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	22	20 (90,9)	0,98 [0,80; 1,19]	0,77 [0,06; 9,37]	-0,02 [-0,20; 0,16]	1,0000
Agalsidase beta	14	13 (92,9)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	23	22 (95,7)	1,08 [0,84; 1,38]	2,75 [0,15; 49,36]	0,07 [-0,15; 0,29]	0,4899
Agalsidase beta	9	8 (88,9)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.1.2.2.6 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Mainz Severity Score Index (MSSI) ≤ 40 (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,6868						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	22	21 (95,5)	0,99 [0,82; 1,20]	0,84 [0,03; 22,81]	-0,05 [-0,13; 0,04]	1,0000
Agalsidase beta	8	8 (100,0)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	23	21 (91,3)	1,05 [0,83; 1,33]	1,62 [0,20; 12,91]	0,05 [-0,16; 0,25]	1,0000
Agalsidase beta	15	13 (86,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.1.2.2.7 ADA-Status zu Baseline

Mainz Severity Score Index (MSSI) ≤ 40 (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,8515						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	29	28 (96,5)	1,00 [0,84; 1,18]	0,96 [0,08; 11,58]	0,00 [-0,16; 0,15]	1,0000
Agalsidase beta	15	14 (93,3)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	16	14 (87,5)	1,00 [0,73; 1,38]	1,00 [0,08; 13,02]	0,00 [-0,28; 0,28]	1,0000
Agalsidase beta	8	7 (87,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.1.2.3 Responderanalyse für Verbesserung des MSSI-Scores (MID 15 %) in der neurologischen Symptomkategorie gegenüber Baseline (Woche 52)

3.3.1.2.3.1 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline im MSSI-Score Kategorie 'neurologisch' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,4699						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	26	3 (11,5)	0,30 [0,09; 1,00]	0,20 [0,04; 0,95]	-0,27 [-0,53; -0,02]	0,0644
Agalsidase beta	18	7 (38,9)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	17	1 (5,9)	1,00 [0,05; 21,42]	1,00 [0,04; 28,30]	0,06 [-0,05; 0,17]	1,0000
Agalsidase beta	5	0 (0,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2 Morbidität: Veränderung des Schmerzerlebens gemessen anhand des BPI-SF

3.3.2.1 Veränderung der BPI-SF-Scores gegenüber Baseline

3.3.2.1.1 Veränderung gegenüber Baseline in 'stärkster Schmerz'

3.3.2.1.1.1 ADA-Status zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'stärkster Schmerz'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,9396							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Negativ	Pegunigalsidase alfa	34	3,44 (2,80)	-	-	-
		Agalsidase beta	17	1,94 (2,61)			
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	18	3,56 (3,22)			
		Agalsidase beta	8	3,88 (2,90)			
Woche 52	Negativ	Pegunigalsidase alfa	29	3,17 (2,73)	0,01 (0,37) [-0,71; 0,73]	0,34 (0,63) [-0,91; 1,59]	0,5888
		Agalsidase beta	15	1,67 (2,32)	-0,33 (0,51) [-1,33; 0,67]		
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	16	3,62 (2,90)	0,33 (0,41) [-0,49; 1,14]	0,41 (0,71) [-1,01; 1,84]	0,5632
		Agalsidase beta	8	3,75 (2,92)	-0,09 (0,58) [-1,25; 1,08]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.1.2 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'stärkster Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,8956							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	33	3,88 (2,97)	-	-	-
		Agalsidase beta	19	2,32 (2,75)			
	> -5	Pegunigalsidase alfa	19	2,79 (2,78)			
		Agalsidase beta	6	3,33 (3,08)			
Woche 52	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	28	3,57 (2,90)	0,04 (0,37) [-0,69; 0,78]	0,31 (0,60) [-0,88; 1,50]	0,6098
		Agalsidase beta	18	2,39 (2,83)	-0,27 (0,47) [-1,19; 0,66]		
	> -5	Pegunigalsidase alfa	17	2,94 (2,56)	0,25 (0,41) [-0,56; 1,07]	0,45 (0,85) [-1,24; 2,14]	0,6005
		Agalsidase beta	5	2,40 (2,30)	-0,19 (0,74) [-1,67; 1,29]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.1.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'stärkster Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,5341							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	28	3,32 (3,13)	-	-	-
		Agalsidase beta	11	2,55 (3,01)			

Veränderung gegenüber Baseline in 'stärkster Schmerz'								
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,5341								
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert	
	≤60	Pegunigalsidase alfa	13	3,46 (2,50)				
		Agalsidase beta	8	3,62 (2,62)				
	>90	Pegunigalsidase alfa	11	3,91 (3,05)				
		Agalsidase beta	6	1,17 (2,40)				
Woche 52	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	26	2,92 (2,37)	-0,06 (0,33) [-0,73; 0,60]	0,23 (0,66) [-1,08; 1,53]	0,7305	
		Agalsidase beta	9	2,22 (2,44)	-0,29 (0,57) [-1,41; 0,83]			
	≤60	Pegunigalsidase alfa	10	4,90 (3,18)	1,07 (0,66) [-0,25; 2,40]	1,05 (1,03) [-1,01; 3,11]	0,3112	
		Agalsidase beta	8	3,62 (3,07)	0,02 (0,79) [-1,56; 1,60]			
	>90	Pegunigalsidase alfa	9	2,78 (3,03)	-0,75 (0,45) [-1,66; 0,15]	-0,39 (0,78) [-1,96; 1,19]	0,6207	
		Agalsidase beta	6	1,00 (2,00)	-0,36 (0,60) [-1,58; 0,85]			
	<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
	ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.1.4 Klassifizierung des Morbus Fabry

Veränderung gegenüber Baseline in 'stärkster Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,8178							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	27	3,56 (3,13)	-	-	-
		Agalsidase beta	14	2,79 (2,72)			
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	25	3,40 (2,74)			
		Agalsidase beta	11	2,27 (3,00)			
Woche 52	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	22	3,68 (2,93)	0,27 (0,33) [-0,38; 0,92]	0,43 (0,53) [-0,62; 1,49]	0,4165
		Agalsidase beta	14	2,71 (2,89)	-0,16 (0,42) [-0,99; 0,66]		
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	23	3,00 (2,61)	-0,02 (0,46) [-0,94; 0,90]	0,20 (0,86) [-1,49; 1,90]	0,8138
		Agalsidase beta	9	1,89 (2,37)	-0,22 (0,72) [-1,64; 1,20]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.1.5 Region

Veränderung gegenüber Baseline in 'stärkster Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,8674							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Europa	Pegunigalsidase alfa	19	3,74 (2,92)	-	-	-
		Agalsidase beta	7	1,00 (1,29)			

Veränderung gegenüber Baseline in 'stärkster Schmerz'								
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,8674								
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert	
Woche 52	USA	Pegunigalsidase alfa	33	3,33 (2,95)			0,8840	
		Agalsidase beta	18	3,17 (3,01)				
	Europa	Pegunigalsidase alfa	15	3,80 (3,36)	0,05 (0,41) [-0,76; 0,86]	0,12 (0,79) [-1,46; 1,69]		0,6456
		Agalsidase beta	7	1,14 (1,46)	-0,07 (0,64) [-1,35; 1,21]			
	USA	Pegunigalsidase alfa	30	3,10 (2,44)	0,07 (0,37) [-0,65; 0,79]	0,28 (0,61) [-0,93; 1,50]		
		Agalsidase beta	16	2,94 (2,93)	-0,22 (0,49) [-1,19; 0,76]			
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>								
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures								

3.3.2.1.1.6 Geschlecht

Veränderung gegenüber Baseline in 'stärkster Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,7851							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Männlich	Pegunigalsidase alfa	29	3,48 (3,03)	-	-	-
		Agalsidase beta	18	2,94 (2,73)			
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	23	3,48 (2,84)			
		Agalsidase beta	7	1,57 (2,94)			

Veränderung gegenüber Baseline in 'stärkster Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,7851							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Woche 52	Männlich	Pegunigalsidase alfa	24	3,67 (2,81)	0,32 (0,30) [-0,28; 0,91]	0,52 (0,47) [-0,42; 1,45]	0,2761
		Agalsidase beta	17	2,59 (2,69)	-0,20 (0,36) [-0,92; 0,52]		
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	21	2,95 (2,73)	-0,09 (0,52) [-1,12; 0,94]	0,19 (1,09) [-1,98; 2,36]	
		Agalsidase beta	6	1,83 (2,79)	-0,29 (0,95) [-2,18; 1,61]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.1.7 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'stärkster Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,1743							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Ja	Pegunigalsidase alfa	26	3,23 (2,90)	-	-	-
		Agalsidase beta	16	2,94 (2,69)			
	Nein	Pegunigalsidase alfa	26	3,73 (2,97)			
		Agalsidase beta	9	1,89 (3,02)			
Woche 52	Ja	Pegunigalsidase alfa	23	4,04 (2,85)	0,82 (0,37) [0,08; 1,56]	0,95 (0,60) [-0,23; 2,12]	0,1144

Veränderung gegenüber Baseline in 'stärkster Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,1743							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	15	2,60 (2,72)	-0,12 (0,46) [-1,04; 0,79]		
	Nein	Pegunigalsidase alfa	22	2,59 (2,52)	-0,66 (0,38) [-1,41; 0,09]	-0,34 (0,74) [-1,80; 1,12]	0,6450
		Agalsidase beta	8	2,00 (2,73)	-0,32 (0,63) [-1,57; 0,92]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.2 Veränderung gegenüber Baseline in 'geringster Schmerz'

3.3.2.1.2.1 ADA-Status zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'geringster Schmerz'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,8301							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Negativ	Pegunigalsidase alfa	34	1,15 (1,69)	-	-	-
		Agalsidase beta	17	1,12 (2,12)			
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	18	0,94 (1,55)			
		Agalsidase beta	8	1,38 (1,69)			
Woche 52	Negativ	Pegunigalsidase alfa	29	1,24 (2,23)	0,03 (0,27) [-0,50; 0,56]	0,43 (0,46) [-0,48; 1,33]	0,3505
Agalsidase beta		15	0,47 (1,13)	-0,40 (0,37) [-1,14; 0,33]			

Veränderung gegenüber Baseline in 'geringster Schmerz'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,8301							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	16	1,38 (2,09)	0,35 (0,28) [-0,21; 0,91]	0,57 (0,49) [-0,41; 1,56]	0,2479
		Agalsidase beta	8	1,12 (1,64)	-0,22 (0,40) [-1,02; 0,58]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.2.2 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'geringster Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,8292							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	33	0,97 (1,24)	-	-	-
		Agalsidase beta	19	0,95 (1,58)			
	> -5	Pegunigalsidase alfa	19	1,26 (2,18)			
		Agalsidase beta	6	2,00 (2,90)			
Woche 52	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	28	1,25 (1,80)	0,22 (0,24) [-0,26; 0,70]	0,45 (0,39) [-0,32; 1,23]	0,2497
		Agalsidase beta	18	0,78 (1,48)	-0,23 (0,31) [-0,84; 0,37]		
	> -5	Pegunigalsidase alfa	17	1,35 (2,71)	-0,10 (0,36) [-0,82; 0,62]	0,63 (0,73) [-0,83; 2,09]	0,3903

Veränderung gegenüber Baseline in 'geringster Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,8292							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	5	0,40 (0,55)	-0,73 (0,64) [-2,00; 0,54]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.2.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'geringster Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,2822							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	28	0,86 (1,38)	-	-	-
		Agalsidase beta	11	1,73 (2,69)			
	≤60	Pegunigalsidase alfa	13	1,23 (1,48)			
		Agalsidase beta	8	1,12 (1,25)			
	>90	Pegunigalsidase alfa	11	1,45 (2,34)			
		Agalsidase beta	6	0,33 (0,52)			
Woche 52	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	26	0,62 (1,17)	-0,36 (0,13) [-0,63; -0,10]	0,18 (0,26) [-0,34; 0,69]	0,4970
		Agalsidase beta	9	0,78 (1,39)	-0,54 (0,22) [-0,98; -0,11]		
	≤60	Pegunigalsidase alfa	10	3,10 (2,81)	1,38 (0,51) [0,35; 2,40]	1,49 (0,79) [-0,09; 3,06]	0,0638

Veränderung gegenüber Baseline in 'geringster Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,2822							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	8	1,00 (1,69)	-0,11 (0,60) [-1,30; 1,09]		
	>90	Pegunigalsidase alfa	9	1,22 (2,64)	0,06 (0,55) [-1,04; 1,17]	0,18 (0,91) [-1,66; 2,03]	0,8425
		Agalsidase beta	6	0,17 (0,41)	-0,12 (0,73) [-1,59; 1,36]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.2.4 Klassifizierung des Morbus Fabry

Veränderung gegenüber Baseline in 'geringster Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,7184							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	27	0,78 (1,40)	-	-	-
		Agalsidase beta	14	0,93 (1,27)			
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	25	1,40 (1,83)			
		Agalsidase beta	11	1,55 (2,62)			
Woche 52	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	22	1,41 (2,28)	0,43 (0,26) [-0,08; 0,94]	0,64 (0,42) [-0,19; 1,47]	0,1282
		Agalsidase beta	14	0,71 (1,38)	-0,21 (0,33) [-0,86; 0,44]		

Veränderung gegenüber Baseline in 'geringster Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,7184							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	Nicht- klassisch	Pegunigalsidase alfa	23	1,17 (2,08)	-0,19 (0,30) [-0,77; 0,40]	0,39 (0,54) [-0,67; 1,46]	0,4659
		Agalsidase beta	9	0,67 (1,32)	-0,58 (0,45) [-1,47; 0,31]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.2.5 Region

Veränderung gegenüber Baseline in 'geringster Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,3523							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Europa	Pegunigalsidase alfa	19	1,11 (1,73)	-	-	-
		Agalsidase beta	7	0,14 (0,38)			
	USA	Pegunigalsidase alfa	33	1,06 (1,60)			
		Agalsidase beta	18	1,61 (2,17)			
Woche 52	Europa	Pegunigalsidase alfa	15	2,07 (2,94)	0,92 (0,35) [0,22; 1,62]	0,87 (0,65) [-0,42; 2,17]	0,1823
		Agalsidase beta	7	0,14 (0,38)	0,04 (0,54) [-1,04; 1,13]		
	USA	Pegunigalsidase alfa	30	0,90 (1,56)	-0,30 (0,22) [-0,73; 0,13]	0,18 (0,37) [-0,54; 0,90]	0,6201

Veränderung gegenüber Baseline in 'geringster Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,3523							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	16	0,94 (1,53)	-0,48 (0,29) [-1,06; 0,10]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.2.6 Geschlecht

Veränderung gegenüber Baseline in 'geringster Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,6917							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Männlich	Pegunigalsidase alfa	29	0,76 (1,35)	-	-	-
		Agalsidase beta	18	1,28 (1,90)			
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	23	1,48 (1,88)			
		Agalsidase beta	7	1,00 (2,24)			
Woche 52	Männlich	Pegunigalsidase alfa	24	1,38 (2,20)	0,44 (0,24) [-0,03; 0,92]	0,73 (0,38) [-0,02; 1,48]	0,0575
		Agalsidase beta	17	0,71 (1,26)	-0,28 (0,29) [-0,86; 0,29]		
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	21	1,19 (2,16)	-0,21 (0,33) [-0,87; 0,45]	0,42 (0,69) [-0,95; 1,78]	0,5469
		Agalsidase beta	6	0,67 (1,63)	-0,63 (0,60) [-1,82; 0,56]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							

Veränderung gegenüber Baseline in 'geringster Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,6917							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.2.7 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'geringster Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,6018							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Ja	Pegunigalsidase alfa	26	1,12 (1,61)	-	-	-
		Agalsidase beta	16	1,38 (2,00)			
	Nein	Pegunigalsidase alfa	26	1,04 (1,68)			
		Agalsidase beta	9	0,89 (1,96)			
Woche 52	Ja	Pegunigalsidase alfa	23	1,61 (2,33)	0,33 (0,33) [-0,33; 0,99]	0,63 (0,53) [-0,42; 1,67]	0,2383
		Agalsidase beta	15	0,73 (1,33)	-0,29 (0,41) [-1,11; 0,52]		
	Nein	Pegunigalsidase alfa	22	0,95 (1,96)	-0,11 (0,19) [-0,49; 0,26]	0,29 (0,37) [-0,44; 1,02]	0,4290
		Agalsidase beta	8	0,62 (1,41)	-0,41 (0,31) [-1,02; 0,21]		
Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.3 Veränderung gegenüber Baseline in 'durchschnittlicher Schmerz'

3.3.2.1.3.1 ADA-Status zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'durchschnittlicher Schmerz'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,1538							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Negativ	Pegunigalsidase alfa	34	2,35 (2,21)	-	-	-
		Agalsidase beta	17	2,12 (1,93)			
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	18	2,06 (2,10)			
		Agalsidase beta	8	2,50 (2,14)			
Woche 52	Negativ	Pegunigalsidase alfa	29	2,41 (2,34)	0,07 (0,27) [-0,45; 0,60]	0,59 (0,46) [-0,31; 1,49]	0,1965
		Agalsidase beta	15	1,53 (1,73)	-0,52 (0,37) [-1,25; 0,21]		
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	16	2,19 (2,17)	0,40 (0,42) [-0,44; 1,23]	-0,63 (0,73) [-2,08; 0,82]	0,3869
		Agalsidase beta	8	3,50 (2,00)	1,03 (0,59) [-0,15; 2,22]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.3.2 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'durchschnittlicher Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,1762							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	33	2,30 (2,02)	-	-	-

Veränderung gegenüber Baseline in 'durchschnittlicher Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,1762							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	> -5	Agalsidase beta	19	2,26 (1,88)			
		Pegunigalsidase alfa	19	2,16 (2,43)			
		Agalsidase beta	6	2,17 (2,40)			
Woche 52	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	28	2,46 (2,25)	0,33 (0,30) [-0,27; 0,93]	0,48 (0,49) [-0,48; 1,44]	0,3234
		Agalsidase beta	18	2,22 (2,02)	-0,15 (0,38) [-0,90; 0,60]		
	> -5	Pegunigalsidase alfa	17	2,12 (2,32)	-0,08 (0,35) [-0,78; 0,62]	-0,68 (0,71) [-2,11; 0,74]	0,3400
		Agalsidase beta	5	2,20 (2,28)	0,60 (0,62) [-0,64; 1,84]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.3.3 Klassifizierung des Morbus Fabry

Veränderung gegenüber Baseline in 'durchschnittlicher Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,5730							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	27	1,85 (1,99)	-	-	-
		Agalsidase beta	14	2,50 (1,65)			
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	25	2,68 (2,29)			

Veränderung gegenüber Baseline in 'durchschnittlicher Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,5730							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	11	1,91 (2,34)			
Woche 52	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	22	2,05 (2,32)	0,26 (0,35) [-0,43; 0,94]	0,02 (0,56) [-1,09; 1,13]	0,9728
		Agalsidase beta	14	2,71 (1,98)	0,24 (0,44) [-0,63; 1,11]		
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	23	2,61 (2,21)	0,13 (0,32) [-0,50; 0,76]	0,48 (0,59) [-0,70; 1,66]	0,4216
		Agalsidase beta	9	1,44 (1,94)	-0,35 (0,50) [-1,34; 0,65]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.3.4 Region

Veränderung gegenüber Baseline in 'durchschnittlicher Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,6830							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Europa	Pegunigalsidase alfa	19	2,63 (2,29)	-	-	-
		Agalsidase beta	7	1,43 (1,81)			
	USA	Pegunigalsidase alfa	33	2,03 (2,08)			
		Agalsidase beta	18	2,56 (1,98)			
Woche 52	Europa	Pegunigalsidase alfa	15	3,40 (2,77)	0,70 (0,42) [-0,15; 1,54]	0,25 (0,75) [-1,25; 1,75]	0,7403

Veränderung gegenüber Baseline in 'durchschnittlicher Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,6830							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	7	1,86 (1,77)	0,45 (0,62) [-0,79; 1,68]		
	USA	Pegunigalsidase alfa	30	1,80 (1,77)	-0,14 (0,27) [-0,67; 0,38]	-0,11 (0,45) [-0,99; 0,77]	0,8110
		Agalsidase beta	16	2,38 (2,16)	-0,04 (0,36) [-0,74; 0,67]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.3.5 Geschlecht

Veränderung gegenüber Baseline in 'durchschnittlicher Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,7407							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Männlich	Pegunigalsidase alfa	29	1,90 (1,93)	-	-	-
		Agalsidase beta	18	2,72 (1,84)			
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	23	2,70 (2,38)			
		Agalsidase beta	7	1,00 (1,83)			
Woche 52	Männlich	Pegunigalsidase alfa	24	2,17 (2,26)	0,31 (0,32) [-0,33; 0,95]	0,34 (0,51) [-0,67; 1,34]	0,5064
Agalsidase beta		17	2,47 (1,91)	-0,03 (0,39) [-0,80; 0,74]			

Veränderung gegenüber Baseline in 'durchschnittlicher Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,7407							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	21	2,52 (2,29)	0,08 (0,35) [-0,62; 0,78]	0,04 (0,75) [-1,45; 1,53]	0,9587
		Agalsidase beta	6	1,50 (2,35)	0,04 (0,65) [-1,26; 1,34]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.3.6 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'durchschnittlicher Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,3517							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Ja	Pegunigalsidase alfa	26	2,15 (2,05)	-	-	-
		Agalsidase beta	16	2,75 (1,95)			
	Nein	Pegunigalsidase alfa	26	2,35 (2,30)			
		Agalsidase beta	9	1,33 (1,73)			
Woche 52	Ja	Pegunigalsidase alfa	23	2,78 (2,45)	0,52 (0,38) [-0,22; 1,26]	0,45 (0,60) [-0,73; 1,64]	0,4498
		Agalsidase beta	15	2,53 (1,88)	0,07 (0,46) [-0,85; 0,98]		
	Nein	Pegunigalsidase alfa	22	1,86 (1,98)	-0,22 (0,24) [-0,70; 0,26]	-0,25 (0,47) [-1,18; 0,68]	0,5886

Veränderung gegenüber Baseline in 'durchschnittlicher Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,3517							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	8	1,62 (2,26)	0,03 (0,40) [-0,76; 0,83]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.3.7 UPCR-Kategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'durchschnittlicher Schmerz'							
Subgruppe (ITT): UPCR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,0159							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	0,5 < und < 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	9	2,00 (2,00)	-	-	-
		Agalsidase beta	2	1,00 (1,41)			
	≤ 0,5 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	36	2,31 (2,33)			
		Agalsidase beta	20	2,15 (2,06)			
	≥ 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	7	2,29 (1,60)			
		Agalsidase beta	3	3,67 (0,58)			
Woche 52	0,5 < und < 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	7	3,57 (3,15)	1,18 (0,90) [-0,72; 3,09]	-1,50 (1,95) [-5,63; 2,64]	0,4541
		Agalsidase beta	2	3,50 (2,12)	2,68 (1,73) [-0,99; 6,35]		
	≤ 0,5 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	32	2,03 (2,04)	-0,10 (0,22) [-0,54; 0,34]	-0,18 (0,37) [-0,92; 0,55]	0,6258

Veränderung gegenüber Baseline in 'durchschnittlicher Schmerz'							
Subgruppe (ITT): UPCR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,0159							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	18	2,17 (2,12)	0,08 (0,30) [-0,51; 0,67]		
	≥ 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	6	2,50 (2,07)	0,22 (0,49) [-0,80; 1,24]	2,43 (0,88) [0,60; 4,27]	0,0121
		Agalsidase beta	3	1,67 (1,53)	-2,21 (0,72) [-3,72; -0,71]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.4 Veränderung gegenüber Baseline in 'momentaner Schmerz'

3.3.2.1.4.1 ADA-Status zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'momentaner Schmerz'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,4124							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Negativ	Pegunigalsidase alfa	34	1,91 (2,30)	-	-	-
		Agalsidase beta	17	1,24 (2,44)			
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	18	1,67 (2,38)			
		Agalsidase beta	8	1,88 (2,03)			
Woche 52	Negativ	Pegunigalsidase alfa	29	1,45 (2,28)	-0,34 (0,27) [-0,87; 0,19]	0,10 (0,46) [-0,81; 1,02]	0,8222
		Agalsidase beta	15	0,60 (1,40)	-0,44 (0,37) [-1,18; 0,30]		

Veränderung gegenüber Baseline in 'momentaner Schmerz'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,4124							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	16	1,81 (2,40)	0,14 (0,43) [-0,72; 1,00]	-0,62 (0,75) [-2,13; 0,88]	0,4129
		Agalsidase beta	8	2,62 (2,62)	0,77 (0,62) [-0,47; 2,00]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.4.2 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'momentaner Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,2146							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	33	1,97 (2,19)	-	-	-
		Agalsidase beta	19	1,11 (1,91)			
	> -5	Pegunigalsidase alfa	19	1,58 (2,55)			
		Agalsidase beta	6	2,50 (3,21)			
Woche 52	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	28	1,71 (2,34)	-0,06 (0,30) [-0,66; 0,54]	0,16 (0,49) [-0,80; 1,13]	0,7396
		Agalsidase beta	18	1,06 (1,98)	-0,22 (0,38) [-0,97; 0,53]		
	> -5	Pegunigalsidase alfa	17	1,35 (2,29)	-0,34 (0,37) [-1,09; 0,41]	-0,97 (0,77) [-2,50; 0,57]	0,2125

Veränderung gegenüber Baseline in 'momentaner Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,2146							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	5	2,20 (2,49)	0,62 (0,67) [-0,71; 1,96]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.4.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'momentaner Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,1762							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	28	1,57 (1,97)	-	-	-
		Agalsidase beta	11	1,64 (2,98)			
	≤60	Pegunigalsidase alfa	13	1,85 (2,08)			
		Agalsidase beta	8	1,62 (1,77)			
	>90	Pegunigalsidase alfa	11	2,45 (3,30)			
		Agalsidase beta	6	0,83 (1,60)			
Woche 52	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	26	1,08 (1,74)	-0,39 (0,28) [-0,94; 0,15]	-0,47 (0,53) [-1,52; 0,57]	0,3728
		Agalsidase beta	9	1,33 (1,80)	0,08 (0,45) [-0,82; 0,97]		
	≤60	Pegunigalsidase alfa	10	3,20 (3,19)	1,02 (0,63) [-0,24; 2,27]	1,18 (0,95) [-0,72; 3,08]	0,2191

Veränderung gegenüber Baseline in 'momentaner Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,1762							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	8	1,50 (2,39)	-0,16 (0,71) [-1,58; 1,26]		
	>90	Pegunigalsidase alfa	9	1,22 (1,99)	-0,83 (0,38) [-1,60; -0,06]	-0,92 (0,63) [-2,20; 0,35]	0,1523
		Agalsidase beta	6	1,00 (2,45)	0,10 (0,50) [-0,91; 1,11]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.4.4 Klassifizierung des Morbus Fabry

Veränderung gegenüber Baseline in 'momentaner Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,1034							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	27	1,63 (2,27)	-	-	-
		Agalsidase beta	14	0,86 (1,46)			
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	25	2,04 (2,37)			
		Agalsidase beta	11	2,18 (2,96)			
Woche 52	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	22	1,86 (2,62)	0,13 (0,28) [-0,42; 0,68]	-0,70 (0,45) [-1,60; 0,20]	0,1273
		Agalsidase beta	14	1,71 (2,30)	0,83 (0,36) [0,12; 1,53]		

Veränderung gegenüber Baseline in 'momentaner Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,1034							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	Nicht- klassisch	Pegunigalsidase alfa	23	1,30 (1,96)	-0,53 (0,33) [-1,18; 0,12]	0,53 (0,60) [-0,66; 1,73]	0,3788
		Agalsidase beta	9	0,67 (1,66)	-1,07 (0,51) [-2,08; -0,06]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.4.5 Geschlecht

Veränderung gegenüber Baseline in 'momentaner Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,6727							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Männlich	Pegunigalsidase alfa	29	1,55 (2,21)	-	-	-
		Agalsidase beta	18	1,50 (2,26)			
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	23	2,17 (2,42)			
		Agalsidase beta	7	1,29 (2,56)			
Woche 52	Männlich	Pegunigalsidase alfa	24	1,79 (2,54)	0,14 (0,29) [-0,44; 0,72]	-0,12 (0,46) [-1,03; 0,79]	0,7983
		Agalsidase beta	17	1,47 (2,15)	0,26 (0,35) [-0,44; 0,96]		
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	21	1,33 (2,03)	-0,55 (0,36) [-1,26; 0,16]	0,25 (0,75) [-1,23; 1,74]	0,7359

Veränderung gegenüber Baseline in 'momentaner Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,6727							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	6	0,83 (2,04)	-0,80 (0,65) [-2,10; 0,50]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.4.6 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'momentaner Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,5518							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Ja	Pegunigalsidase alfa	26	1,58 (2,04)	-	-	-
		Agalsidase beta	16	1,44 (2,28)			
	Nein	Pegunigalsidase alfa	26	2,08 (2,56)			
		Agalsidase beta	9	1,44 (2,46)			
Woche 52	Ja	Pegunigalsidase alfa	23	1,96 (2,74)	0,29 (0,36) [-0,42; 1,01]	0,14 (0,58) [-1,00; 1,27]	0,8145
		Agalsidase beta	15	1,27 (1,91)	0,16 (0,45) [-0,73; 1,04]		
	Nein	Pegunigalsidase alfa	22	1,18 (1,71)	-0,63 (0,32) [-1,27; 0,00]	-0,37 (0,62) [-1,60; 0,86]	0,5541
		Agalsidase beta	8	1,38 (2,56)	-0,26 (0,53) [-1,32; 0,79]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							

Veränderung gegenüber Baseline in 'momentaner Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,5518							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.4.7 UPCR-Kategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'momentaner Schmerz'							
Subgruppe (ITT): UPCR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,0514							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	0,5 < und < 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	9	1,33 (2,40)	-	-	-
		Agalsidase beta	2	1,00 (1,41)			
	≤ 0,5 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	36	1,92 (2,41)			
		Agalsidase beta	20	1,45 (2,46)			
	≥ 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	7	2,00 (1,83)			
		Agalsidase beta	3	1,67 (2,08)			
Woche 52	0,5 < und < 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	7	2,86 (3,29)	1,02 (0,33) [0,32; 1,72]	1,01 (0,73) [-0,53; 2,55]	0,1823
		Agalsidase beta	2	1,00 (1,41)	0,01 (0,65) [-1,36; 1,38]		
	≤ 0,5 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	32	1,12 (1,74)	-0,59 (0,26) [-1,10; -0,08]	-0,80 (0,43) [-1,64; 0,04]	0,0623
		Agalsidase beta	18	1,50 (2,31)	0,21 (0,34) [-0,46; 0,88]		
	≥ 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	6	2,50 (3,21)	0,33 (1,08) [-1,92; 2,59]	1,89 (1,91) [-2,11; 5,90]	0,3344

Veränderung gegenüber Baseline in 'momentaner Schmerz'							
Subgruppe (ITT): UPCR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,0514							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	3	0,33 (0,58)	-1,56 (1,58) [-4,87; 1,75]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.5 Veränderung gegenüber Baseline in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz'

3.3.2.1.5.1 ADA-Status zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,6325							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Negativ	Pegunigalsidase alfa	34	2,21 (1,99)	-	-	-
		Agalsidase beta	17	1,60 (2,12)			
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	18	2,06 (2,14)			
		Agalsidase beta	8	2,41 (1,83)			
Woche 52	Negativ	Pegunigalsidase alfa	29	2,07 (2,17)	-0,10 (0,24) [-0,56; 0,37]	0,28 (0,40) [-0,52; 1,08]	0,4942
		Agalsidase beta	15	1,07 (1,51)	-0,37 (0,33) [-1,02; 0,27]		
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	16	2,25 (2,19)	0,32 (0,29) [-0,26; 0,91]	-0,04 (0,51) [-1,06; 0,99]	0,9451
		Agalsidase beta	8	2,75 (2,01)	0,36 (0,42) [-0,48; 1,19]		

Veränderung gegenüber Baseline in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,6325							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.5.2 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,5801							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	33	2,28 (1,82)	-	-	-
		Agalsidase beta	19	1,66 (1,86)			
	> -5	Pegunigalsidase alfa	19	1,95 (2,37)			
		Agalsidase beta	6	2,50 (2,60)			
Woche 52	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	28	2,25 (2,07)	0,08 (0,24) [-0,39; 0,55]	0,25 (0,38) [-0,51; 1,00]	0,5212
		Agalsidase beta	18	1,61 (1,90)	-0,17 (0,30) [-0,75; 0,42]		
	> -5	Pegunigalsidase alfa	17	1,94 (2,34)	-0,07 (0,31) [-0,68; 0,55]	-0,16 (0,63) [-1,43; 1,10]	0,7971
		Agalsidase beta	5	1,80 (1,83)	0,10 (0,55) [-1,00; 1,20]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.5.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,0549							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	28	1,90 (1,87)	-	-	-
		Agalsidase beta	11	1,98 (2,59)			
	≤60	Pegunigalsidase alfa	13	2,27 (1,68)			
		Agalsidase beta	8	2,44 (1,50)			
	>90	Pegunigalsidase alfa	11	2,68 (2,74)			
		Agalsidase beta	6	0,88 (1,23)			
Woche 52	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	26	1,63 (1,52)	-0,15 (0,20) [-0,55; 0,24]	-0,24 (0,39) [-1,01; 0,53]	0,5384
		Agalsidase beta	9	1,78 (1,74)	0,09 (0,33) [-0,57; 0,75]		
	≤60	Pegunigalsidase alfa	10	3,72 (2,80)	0,99 (0,37) [0,25; 1,74]	1,30 (0,57) [0,15; 2,45]	0,0276
		Agalsidase beta	8	2,16 (2,13)	-0,30 (0,44) [-1,18; 0,57]		
	>90	Pegunigalsidase alfa	9	1,81 (2,32)	-0,58 (0,35) [-1,29; 0,13]	-0,40 (0,61) [-1,63; 0,83]	0,5168
		Agalsidase beta	6	0,79 (1,58)	-0,18 (0,48) [-1,14; 0,78]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.5.4 Klassifizierung des Morbus Fabry

Veränderung gegenüber Baseline in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,6293							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	27	1,95 (2,03)	-	-	-
		Agalsidase beta	14	1,77 (1,51)			
	Nicht- klassisch	Pegunigalsidase alfa	25	2,38 (2,03)			
		Agalsidase beta	11	1,98 (2,63)			
Woche 52	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	22	2,25 (2,37)	0,27 (0,21) [-0,16; 0,69]	0,07 (0,35) [-0,61; 0,76]	0,8323
		Agalsidase beta	14	1,96 (1,89)	0,19 (0,27) [-0,35; 0,73]		
	Nicht- klassisch	Pegunigalsidase alfa	23	2,02 (1,98)	-0,17 (0,29) [-0,75; 0,42]	0,38 (0,54) [-0,69; 1,46]	0,4808
		Agalsidase beta	9	1,17 (1,77)	-0,55 (0,46) [-1,45; 0,35]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.5.5 Region

Veränderung gegenüber Baseline in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,6068							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Europa	Pegunigalsidase alfa	19	2,39 (2,23)	-	-	-
		Agalsidase beta	7	0,82 (0,84)			

Veränderung gegenüber Baseline in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz'								
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,6068								
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert	
Woche 52	USA	Pegunigalsidase alfa	33	2,02 (1,92)			0,6756	
		Agalsidase beta	18	2,26 (2,23)				
	Europa	Pegunigalsidase alfa	15	2,95 (2,80)	0,32 (0,26) [-0,20; 0,84]	0,20 (0,48) [-0,76; 1,17]		0,7658
		Agalsidase beta	7	0,79 (0,67)	0,12 (0,40) [-0,68; 0,92]			
	USA	Pegunigalsidase alfa	30	1,73 (1,65)	-0,22 (0,23) [-0,67; 0,24]	-0,12 (0,39) [-0,88; 0,65]		
		Agalsidase beta	16	2,03 (2,08)	-0,10 (0,31) [-0,71; 0,51]			

Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline

ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures

3.3.2.1.5.6 Geschlecht

Veränderung gegenüber Baseline in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,8202							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Männlich	Pegunigalsidase alfa	29	1,92 (1,96)	-	-	-
		Agalsidase beta	18	2,11 (1,90)			
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	23	2,46 (2,10)			
		Agalsidase beta	7	1,21 (2,38)			

Veränderung gegenüber Baseline in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,8202							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Woche 52	Männlich	Pegunigalsidase alfa	24	2,25 (2,26)	0,30 (0,21) [-0,11; 0,70]	0,33 (0,32) [-0,31; 0,97]	0,3056
		Agalsidase beta	17	1,81 (1,77)	-0,04 (0,25) [-0,53; 0,45]		
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	21	2,00 (2,07)	-0,22 (0,33) [-0,88; 0,43]	0,16 (0,69) [-1,21; 1,53]	
		Agalsidase beta	6	1,21 (2,16)	-0,38 (0,60) [-1,58; 0,82]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.5.7 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,2038							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Ja	Pegunigalsidase alfa	26	2,02 (1,95)	-	-	-
		Agalsidase beta	16	2,12 (1,97)			
	Nein	Pegunigalsidase alfa	26	2,30 (2,13)			
		Agalsidase beta	9	1,39 (2,18)			
Woche 52	Ja	Pegunigalsidase alfa	23	2,60 (2,36)	0,47 (0,28) [-0,09; 1,04]	0,53 (0,45) [-0,37; 1,42]	0,2467

Veränderung gegenüber Baseline in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,2038							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	15	1,78 (1,73)	-0,05 (0,35) [-0,75; 0,64]		
	Nein	Pegunigalsidase alfa	22	1,65 (1,85)	-0,45 (0,20) [-0,85; -0,04]	-0,24 (0,39) [-1,01; 0,54]	0,5512
		Agalsidase beta	8	1,41 (2,15)	-0,21 (0,34) [-0,88; 0,46]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.5.8 UPCR-Kategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz'							
Subgruppe (ITT): UPCR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,1240							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	0,5 < und < 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	9	1,78 (2,08)	-	-	-
		Agalsidase beta	2	1,25 (1,77)			
	≤ 0,5 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	36	2,22 (2,10)			
		Agalsidase beta	20	1,82 (2,18)			
	≥ 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	7	2,36 (1,71)			
		Agalsidase beta	3	2,50 (1,39)			
Woche 52	0,5 < und < 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	7	3,25 (3,10)	1,06 (0,47) [0,07; 2,05]	0,54 (1,04) [-1,66; 2,75]	0,6074

Veränderung gegenüber Baseline in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz'							
Subgruppe (ITT): UPCR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,1240							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	2	1,75 (0,71)	0,52 (0,93) [-1,45; 2,48]		
	≤ 0,5 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	32	1,80 (1,84)	-0,24 (0,20) [-0,64; 0,15]	-0,29 (0,33) [-0,94; 0,36]	0,3784
		Agalsidase beta	18	1,75 (2,05)	0,05 (0,26) [-0,47; 0,56]		
	≥ 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	6	2,58 (2,39)	0,12 (0,51) [-0,96; 1,19]	1,63 (0,92) [-0,30; 3,55]	0,0931
		Agalsidase beta	3	1,00 (0,90)	-1,51 (0,76) [-3,11; 0,09]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.6 Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz'

3.3.2.1.6.1 ADA-Status zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,7929							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Negativ	Pegunigalsidase alfa	34	2,68 (2,98)	-	-	-
		Agalsidase beta	17	1,59 (2,50)			
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	18	2,06 (2,98)			

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,7929							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	8	1,88 (1,96)			
Woche 52	Negativ	Pegunigalsidase alfa	29	1,69 (2,45)	-0,92 (0,33) [-1,57; -0,27]	-0,37 (0,57) [-1,50; 0,75]	0,5139
		Agalsidase beta	15	1,20 (2,11)	-0,55 (0,46) [-1,45; 0,36]		
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	16	2,50 (3,46)	0,77 (0,67) [-0,56; 2,10]	-0,71 (1,17) [-3,04; 1,61]	
		Agalsidase beta	8	3,38 (3,11)	1,48 (0,96) [-0,43; 3,40]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.6.2 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,2299							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	33	2,73 (3,05)	-	-	-
		Agalsidase beta	19	1,47 (1,93)			
	> -5	Pegunigalsidase alfa	19	2,00 (2,83)			
		Agalsidase beta	6	2,33 (3,39)			
Woche 52	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	28	2,14 (2,95)	-0,20 (0,46) [-1,11; 0,71]	-0,04 (0,75) [-1,52; 1,44]	0,9558

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,2299							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	18	1,78 (2,71)	-0,16 (0,58) [-1,31; 0,99]		
	> -5	Pegunigalsidase alfa	17	1,71 (2,71)	-0,52 (0,43) [-1,37; 0,34]	-1,42 (0,87) [-3,16; 0,32]	0,1079
		Agalsidase beta	5	2,60 (2,61)	0,90 (0,76) [-0,61; 2,42]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.6.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,3891							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	28	2,57 (3,08)	-	-	-
		Agalsidase beta	11	2,09 (3,14)			
	≤60	Pegunigalsidase alfa	13	2,31 (2,81)			
		Agalsidase beta	8	2,00 (1,41)			
	>90	Pegunigalsidase alfa	11	2,36 (3,11)			
		Agalsidase beta	6	0,50 (0,84)			
Woche 52	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	26	1,19 (2,02)	-1,24 (0,35) [-1,93; -0,55]	-1,26 (0,68) [-2,61; 0,08]	0,0656

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,3891							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	9	2,11 (2,80)	0,02 (0,58) [-1,13; 1,17]		
	≤60	Pegunigalsidase alfa	10	3,90 (3,51)	1,16 (0,81) [-0,47; 2,78]	0,58 (1,23) [-1,89; 3,06]	0,6372
		Agalsidase beta	8	2,62 (3,11)	0,57 (0,93) [-1,29; 2,43]		
	>90	Pegunigalsidase alfa	9	2,11 (3,33)	-0,04 (0,69) [-1,43; 1,35]	-0,30 (1,18) [-2,68; 2,09]	0,8038
		Agalsidase beta	6	0,83 (1,60)	0,25 (0,93) [-1,62; 2,13]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.6.4 Klassifizierung des Morbus Fabry

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,6480							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	27	2,11 (2,91)	-	-	-
		Agalsidase beta	14	1,57 (1,70)			
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	25	2,84 (3,04)			
		Agalsidase beta	11	1,82 (2,99)			

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,6480							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Woche 52	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	22	2,36 (3,43)	0,30 (0,50) [-0,69; 1,29]	-0,62 (0,82) [-2,25; 1,01]	0,4524
		Agalsidase beta	14	2,57 (2,77)	0,92 (0,65) [-0,37; 2,21]		
	Nicht- klassisch	Pegunigalsidase alfa	23	1,61 (2,15)	-1,03 (0,37) [-1,77; -0,29]	-0,13 (0,69) [-1,51; 1,25]	
		Agalsidase beta	9	1,00 (2,29)	-0,90 (0,58) [-2,05; 0,25]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.6.5 Region

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,1552							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Europa	Pegunigalsidase alfa	19	2,11 (2,98)	-	-	-
		Agalsidase beta	7	0,29 (0,76)			
	USA	Pegunigalsidase alfa	33	2,67 (2,99)			
		Agalsidase beta	18	2,22 (2,49)			
Woche 52	Europa	Pegunigalsidase alfa	15	3,07 (3,63)	0,71 (0,51) [-0,30; 1,73]	0,32 (0,94) [-1,55; 2,20]	0,7317

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,1552							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	7	0,57 (1,51)	0,39 (0,78) [-1,16; 1,94]		
	USA	Pegunigalsidase alfa	30	1,43 (2,22)	-1,07 (0,39) [-1,83; -0,31]	-1,30 (0,64) [-2,57; -0,02]	0,0459
		Agalsidase beta	16	2,56 (2,85)	0,23 (0,52) [-0,79; 1,24]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.6.6 Geschlecht

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,9263							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Männlich	Pegunigalsidase alfa	29	2,14 (2,84)	-	-	-
		Agalsidase beta	18	1,83 (2,23)			
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	23	2,87 (3,14)			
		Agalsidase beta	7	1,29 (2,63)			
Woche 52	Männlich	Pegunigalsidase alfa	24	2,38 (3,28)	0,28 (0,46) [-0,63; 1,18]	-0,24 (0,72) [-1,67; 1,19]	0,7434
		Agalsidase beta	17	2,18 (2,65)	0,51 (0,56) [-0,59; 1,61]		

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,9263							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	21	1,52 (2,23)	-1,12 (0,42) [-1,95; -0,28]	-0,34 (0,89) [-2,11; 1,42]	0,7000
		Agalsidase beta	6	1,33 (2,80)	-0,78 (0,77) [-2,31; 0,76]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.6.7 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,8481							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Ja	Pegunigalsidase alfa	26	2,35 (2,87)	-	-	-
		Agalsidase beta	16	2,00 (2,31)			
	Nein	Pegunigalsidase alfa	26	2,58 (3,11)			
		Agalsidase beta	9	1,11 (2,32)			
Woche 52	Ja	Pegunigalsidase alfa	23	2,26 (2,94)	-0,19 (0,49) [-1,16; 0,78]	-0,53 (0,78) [-2,07; 1,01]	0,4973
		Agalsidase beta	15	2,20 (2,73)	0,34 (0,60) [-0,85; 1,53]		
	Nein	Pegunigalsidase alfa	22	1,68 (2,77)	-0,51 (0,46) [-1,42; 0,39]	-0,30 (0,90) [-2,09; 1,49]	

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,8481							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	8	1,50 (2,62)	-0,21 (0,77) [-1,74; 1,31]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.7 Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz'

3.3.2.1.7.1 ADA-Status zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,9390							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Negativ	Pegunigalsidase alfa	34	2,44 (2,96)	-	-	-
		Agalsidase beta	17	1,76 (2,75)			
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	18	2,17 (3,01)			
		Agalsidase beta	8	2,62 (2,62)			
Woche 52	Negativ	Pegunigalsidase alfa	29	1,79 (2,37)	-0,57 (0,34) [-1,25; 0,11]	0,15 (0,59) [-1,02; 1,32]	0,7970
		Agalsidase beta	15	1,13 (2,42)	-0,72 (0,48) [-1,67; 0,23]		
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	16	2,31 (2,80)	0,42 (0,72) [-1,01; 1,86]	0,26 (1,27) [-2,27; 2,79]	0,8384
		Agalsidase beta	8	2,75 (2,96)	0,16 (1,04) [-1,92; 2,24]		

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,9390							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.7.2 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,4738							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	33	2,61 (3,13)	-	-	-
		Agalsidase beta	19	1,79 (2,49)			
	> -5	Pegunigalsidase alfa	19	1,89 (2,62)			
		Agalsidase beta	6	2,83 (3,37)			
Woche 52	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	28	1,64 (2,06)	-0,71 (0,40) [-1,51; 0,08]	-0,16 (0,65) [-1,45; 1,12]	0,8016
		Agalsidase beta	18	1,61 (2,87)	-0,55 (0,51) [-1,56; 0,45]		
	> -5	Pegunigalsidase alfa	17	2,53 (3,10)	0,50 (0,42) [-0,33; 1,33]	0,61 (0,86) [-1,10; 2,32]	0,4812
		Agalsidase beta	5	2,00 (2,00)	-0,11 (0,75) [-1,60; 1,38]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.7.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,1644							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	28	2,61 (3,08)	-	-	-
		Agalsidase beta	11	2,18 (3,31)			
	≤60	Pegunigalsidase alfa	13	1,31 (2,21)			
		Agalsidase beta	8	2,38 (2,33)			
	>90	Pegunigalsidase alfa	11	2,91 (3,30)			
		Agalsidase beta	6	1,33 (2,07)			
Woche 52	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	26	1,38 (1,55)	-1,06 (0,36) [-1,78; -0,35]	-0,86 (0,70) [-2,25; 0,53]	0,2218
		Agalsidase beta	9	2,00 (3,04)	-0,20 (0,60) [-1,39; 0,99]		
	≤60	Pegunigalsidase alfa	10	2,70 (2,91)	0,97 (0,76) [-0,56; 2,49]	1,28 (1,18) [-1,07; 3,64]	0,2795
		Agalsidase beta	8	2,00 (3,02)	-0,32 (0,89) [-2,10; 1,46]		
	>90	Pegunigalsidase alfa	9	2,89 (3,86)	0,16 (0,49) [-0,83; 1,15]	0,80 (0,82) [-0,86; 2,45]	0,3376
		Agalsidase beta	6	0,83 (1,60)	-0,64 (0,64) [-1,94; 0,66]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.7.4 Klassifizierung des Morbus Fabry

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,6011							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	27	1,85 (2,67)	-	-	-
		Agalsidase beta	14	1,71 (1,82)			
	Nicht- klassisch	Pegunigalsidase alfa	25	2,88 (3,19)			
		Agalsidase beta	11	2,45 (3,56)			
Woche 52	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	22	1,86 (2,53)	0,02 (0,46) [-0,88; 0,93]	-0,15 (0,75) [-1,64; 1,35]	0,8454
		Agalsidase beta	14	1,93 (2,56)	0,17 (0,60) [-1,02; 1,36]		
	Nicht- klassisch	Pegunigalsidase alfa	23	2,09 (2,54)	-0,61 (0,46) [-1,52; 0,31]	0,45 (0,85) [-1,24; 2,13]	0,6003
		Agalsidase beta	9	1,33 (2,96)	-1,05 (0,71) [-2,47; 0,36]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.7.5 Region

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,3658							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Europa	Pegunigalsidase alfa	19	1,89 (2,73)	-	-	-
		Agalsidase beta	7	0,57 (1,51)			

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,3658							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	USA	Pegunigalsidase alfa	33	2,61 (3,08)			
		Agalsidase beta	18	2,61 (2,85)			
Woche 52	Europa	Pegunigalsidase alfa	15	2,13 (3,04)	0,33 (0,44) [-0,54; 1,21]	0,72 (0,83) [-0,95; 2,38]	0,3926
		Agalsidase beta	7	0,43 (1,13)	-0,39 (0,70) [-1,78; 1,01]		
	USA	Pegunigalsidase alfa	30	1,90 (2,25)	-0,64 (0,41) [-1,45; 0,17]	-0,26 (0,69) [-1,62; 1,10]	
		Agalsidase beta	16	2,25 (2,98)	-0,38 (0,55) [-1,47; 0,72]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.7.6 Geschlecht

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,5896							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Männlich	Pegunigalsidase alfa	29	1,83 (2,58)	-	-	-
		Agalsidase beta	18	2,17 (2,57)			
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	23	3,00 (3,30)			
		Agalsidase beta	7	1,71 (3,15)			

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,5896							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Woche 52	Männlich	Pegunigalsidase alfa	24	2,04 (2,56)	0,20 (0,45) [-0,69; 1,09]	0,51 (0,71) [-0,89; 1,91]	0,4760
		Agalsidase beta	17	1,71 (2,39)	-0,31 (0,55) [-1,39; 0,78]		
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	21	1,90 (2,51)	-0,83 (0,49) [-1,80; 0,14]	-0,16 (1,02) [-2,20; 1,87]	
		Agalsidase beta	6	1,67 (3,61)	-0,67 (0,90) [-2,45; 1,11]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.7.7 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,5983							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Ja	Pegunigalsidase alfa	26	2,00 (2,83)	-	-	-
		Agalsidase beta	16	2,19 (2,64)			
	Nein	Pegunigalsidase alfa	26	2,69 (3,08)			
		Agalsidase beta	9	1,78 (2,91)			
Woche 52	Ja	Pegunigalsidase alfa	23	2,22 (2,47)	0,04 (0,44) [-0,83; 0,91]	0,37 (0,70) [-1,01; 1,75]	0,5948

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,5983							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	15	1,67 (2,44)	-0,33 (0,54) [-1,41; 0,74]		
	Nein	Pegunigalsidase alfa	22	1,73 (2,59)	-0,64 (0,47) [-1,56; 0,29]	-0,23 (0,91) [-2,03; 1,57]	0,7997
		Agalsidase beta	8	1,75 (3,24)	-0,41 (0,78) [-1,94; 1,13]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.8 Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz'

3.3.2.1.8.1 ADA-Status zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,8881							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Negativ	Pegunigalsidase alfa	34	1,97 (3,03)	-	-	-
		Agalsidase beta	17	1,47 (2,43)			
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	18	2,22 (3,23)			
		Agalsidase beta	8	2,88 (3,44)			
Woche 52	Negativ	Pegunigalsidase alfa	29	1,59 (2,40)	-0,23 (0,30) [-0,82; 0,36]	0,24 (0,51) [-0,78; 1,25]	0,6475
		Agalsidase beta	15	1,00 (2,00)	-0,46 (0,42) [-1,29; 0,36]		

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,8881							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	16	2,56 (3,29)	0,32 (0,49) [-0,65; 1,30]	0,10 (0,85) [-1,59; 1,79]	0,9100
		Agalsidase beta	8	3,00 (2,67)	0,23 (0,69) [-1,15; 1,61]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.8.2 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,9640							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	33	2,21 (2,97)	-	-	-
		Agalsidase beta	19	1,53 (2,22)			
	> -5	Pegunigalsidase alfa	19	1,79 (3,31)			
		Agalsidase beta	6	3,17 (4,17)			
Woche 52	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	28	1,93 (2,85)	-0,10 (0,30) [-0,69; 0,49]	0,22 (0,48) [-0,73; 1,17]	0,6492
		Agalsidase beta	18	1,39 (2,30)	-0,32 (0,38) [-1,06; 0,42]		
	> -5	Pegunigalsidase alfa	17	1,94 (2,66)	-0,21 (0,53) [-1,27; 0,86]	0,17 (1,08) [-1,99; 2,32]	

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,9640							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	5	2,80 (2,68)	-0,38 (0,94) [-2,25; 1,50]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.8.3 Klassifizierung des Morbus Fabry

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,9593							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	27	2,15 (3,29)	-	-	-
		Agalsidase beta	14	2,21 (2,86)			
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	25	1,96 (2,88)			
		Agalsidase beta	11	1,55 (2,81)			
Woche 52	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	22	2,41 (3,43)	0,09 (0,35) [-0,60; 0,78]	0,24 (0,56) [-0,88; 1,36]	0,6737
		Agalsidase beta	14	2,07 (2,46)	-0,14 (0,44) [-1,02; 0,74]		
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	23	1,48 (1,86)	-0,21 (0,37) [-0,94; 0,51]	0,19 (0,67) [-1,13; 1,52]	0,7724
		Agalsidase beta	9	1,11 (2,32)	-0,41 (0,56) [-1,51; 0,70]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,9593							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.8.4 Region

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,2426							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Europa	Pegunigalsidase alfa	19	2,16 (3,20)	-	-	-
		Agalsidase beta	7	0,43 (0,79)			
	USA	Pegunigalsidase alfa	33	2,00 (3,04)			
		Agalsidase beta	18	2,50 (3,09)			
Woche 52	Europa	Pegunigalsidase alfa	15	2,67 (3,60)	0,37 (0,39) [-0,41; 1,14]	0,68 (0,72) [-0,76; 2,13]	0,3471
		Agalsidase beta	7	0,29 (0,76)	-0,32 (0,60) [-1,51; 0,87]		
	USA	Pegunigalsidase alfa	30	1,57 (2,19)	-0,41 (0,32) [-1,04; 0,22]	-0,37 (0,53) [-1,42; 0,69]	0,4943
		Agalsidase beta	16	2,31 (2,63)	-0,04 (0,43) [-0,89; 0,80]		
Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.8.5 Geschlecht

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,8614							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Männlich	Pegunigalsidase alfa	29	2,38 (3,50)	-	-	-
		Agalsidase beta	18	2,22 (2,98)			
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	23	1,65 (2,44)			
		Agalsidase beta	7	1,14 (2,27)			
Woche 52	Männlich	Pegunigalsidase alfa	24	2,50 (3,30)	0,08 (0,36) [-0,63; 0,79]	0,33 (0,56) [-0,78; 1,44]	0,5555
		Agalsidase beta	17	1,88 (2,29)	-0,26 (0,43) [-1,11; 0,60]		
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	21	1,29 (1,82)	-0,14 (0,40) [-0,94; 0,67]	0,16 (0,84) [-1,50; 1,82]	0,8526
		Agalsidase beta	6	1,17 (2,86)	-0,29 (0,73) [-1,74; 1,16]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.8.6 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,3641							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Ja	Pegunigalsidase alfa	26	1,77 (2,79)	-	-	-
		Agalsidase beta	16	2,44 (3,10)			

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz'								
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,3641								
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert	
Woche 52	Nein	Pegunigalsidase alfa	26	2,35 (3,36)			0,3134	
		Agalsidase beta	9	1,00 (2,00)				
	Ja	Pegunigalsidase alfa	23	2,22 (2,76)	0,23 (0,36) [-0,48; 0,93]	0,57 (0,57) [-0,55; 1,69]		0,6765
		Agalsidase beta	15	1,73 (2,12)	-0,35 (0,44) [-1,22; 0,52]			
	Nein	Pegunigalsidase alfa	22	1,64 (2,77)	-0,25 (0,44) [-1,11; 0,62]	-0,36 (0,86) [-2,06; 1,34]		
		Agalsidase beta	8	1,62 (3,02)	0,11 (0,73) [-1,34; 1,56]			

Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline

ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures

3.3.2.1.9 Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz'

3.3.2.1.9.1 ADA-Status zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,8577							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Negativ	Pegunigalsidase alfa	34	2,68 (3,35)	-	-	-
		Agalsidase beta	17	1,82 (2,60)			
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	18	2,28 (3,30)			

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,8577							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	8	3,62 (3,50)			
Woche 52	Negativ	Pegunigalsidase alfa	29	1,76 (2,61)	-0,76 (0,34) [-1,44; -0,09]	-0,10 (0,58) [-1,26; 1,05]	0,8606
		Agalsidase beta	15	1,40 (2,41)	-0,66 (0,47) [-1,59; 0,27]		
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	16	2,38 (3,20)	0,42 (0,62) [-0,80; 1,65]	0,12 (1,08) [-2,04; 2,28]	0,9136
		Agalsidase beta	8	3,88 (3,18)	0,31 (0,89) [-1,47; 2,08]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.9.2 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,2144							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	33	2,61 (3,21)	-	-	-
		Agalsidase beta	19	2,11 (2,60)			
	> -5	Pegunigalsidase alfa	19	2,42 (3,55)			
		Agalsidase beta	6	3,33 (4,08)			
Woche 52	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	28	2,14 (2,98)	-0,18 (0,41) [-0,99; 0,64]	-0,04 (0,67) [-1,36; 1,29]	0,9544

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,2144							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	18	2,17 (3,05)	-0,14 (0,53) [-1,18; 0,90]		
	> -5	Pegunigalsidase alfa	17	1,71 (2,59)	-1,02 (0,34) [-1,69; -0,34]	-1,23 (0,69) [-2,61; 0,14]	0,0782
		Agalsidase beta	5	2,60 (2,51)	0,22 (0,60) [-0,98; 1,41]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.9.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,3159							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	28	2,29 (3,17)	-	-	-
		Agalsidase beta	11	3,00 (3,61)			
	≤60	Pegunigalsidase alfa	13	2,38 (2,96)			
		Agalsidase beta	8	3,00 (2,67)			
	>90	Pegunigalsidase alfa	11	3,36 (4,13)			
		Agalsidase beta	6	0,50 (0,84)			
Woche 52	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	26	1,27 (2,18)	-0,99 (0,39) [-1,76; -0,22]	-0,49 (0,74) [-1,96; 0,98]	0,5135

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,3159							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	9	2,33 (3,20)	-0,50 (0,63) [-1,75; 0,75]		
	≤60	Pegunigalsidase alfa	10	3,70 (3,47)	0,69 (0,44) [-0,19; 1,58]	0,57 (0,67) [-0,77; 1,91]	0,3972
		Agalsidase beta	8	3,12 (3,09)	0,12 (0,50) [-0,89; 1,13]		
	>90	Pegunigalsidase alfa	9	2,11 (3,14)	-0,87 (0,70) [-2,28; 0,53]	-1,30 (1,19) [-3,69; 1,09]	0,2783
		Agalsidase beta	6	1,00 (2,00)	0,43 (0,94) [-1,47; 2,33]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.9.4 Klassifizierung des Morbus Fabry

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,4137							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	27	2,11 (3,17)	-	-	-
		Agalsidase beta	14	2,64 (2,82)			
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	25	3,00 (3,45)			
		Agalsidase beta	11	2,09 (3,27)			

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,4137							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Woche 52	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	22	2,36 (3,40)	0,28 (0,43) [-0,57; 1,14]	0,33 (0,72) [-1,08; 1,75]	0,6415
		Agalsidase beta	14	2,57 (2,87)	-0,05 (0,57) [-1,18; 1,08]		
	Nicht- klassisch	Pegunigalsidase alfa	23	1,61 (2,13)	-1,09 (0,38) [-1,85; -0,33]	-0,49 (0,70) [-1,88; 0,91]	
		Agalsidase beta	9	1,78 (3,03)	-0,60 (0,58) [-1,76; 0,55]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.9.5 Region

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,3238							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Europa	Pegunigalsidase alfa	19	2,26 (3,11)	-	-	-
		Agalsidase beta	7	0,43 (0,79)			
	USA	Pegunigalsidase alfa	33	2,70 (3,45)			
		Agalsidase beta	18	3,17 (3,17)			
Woche 52	Europa	Pegunigalsidase alfa	15	2,60 (3,33)	0,23 (0,39) [-0,54; 1,01]	0,03 (0,73) [-1,43; 1,48]	0,9701

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,3238							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	7	0,57 (0,98)	0,21 (0,60) [-1,00; 1,41]		
	USA	Pegunigalsidase alfa	30	1,67 (2,52)	-1,03 (0,38) [-1,77; -0,28]	-0,92 (0,63) [-2,17; 0,32]	0,1445
		Agalsidase beta	16	3,00 (3,16)	-0,10 (0,51) [-1,10; 0,90]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.9.6 Geschlecht

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,5059							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Männlich	Pegunigalsidase alfa	29	2,34 (3,39)	-	-	-
		Agalsidase beta	18	2,78 (2,98)			
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	23	2,78 (3,25)			
		Agalsidase beta	7	1,43 (2,94)			
Woche 52	Männlich	Pegunigalsidase alfa	24	2,46 (3,30)	0,05 (0,39) [-0,73; 0,82]	0,13 (0,61) [-1,08; 1,34]	0,8325
		Agalsidase beta	17	2,47 (2,70)	-0,08 (0,47) [-1,02; 0,85]		

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,5059							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	21	1,43 (2,09)	-1,05 (0,43) [-1,90; -0,21]	-0,59 (0,89) [-2,36; 1,18]	0,5099
		Agalsidase beta	6	1,67 (3,61)	-0,46 (0,78) [-2,01; 1,08]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.9.7 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,6117							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Ja	Pegunigalsidase alfa	26	2,23 (3,00)	-	-	-
		Agalsidase beta	16	3,00 (3,08)			
	Nein	Pegunigalsidase alfa	26	2,85 (3,62)			
		Agalsidase beta	9	1,33 (2,60)			
Woche 52	Ja	Pegunigalsidase alfa	23	2,22 (3,00)	-0,27 (0,41) [-1,07; 0,54]	-0,14 (0,65) [-1,42; 1,15]	0,8337
		Agalsidase beta	15	2,47 (2,72)	-0,13 (0,50) [-1,13; 0,86]		
	Nein	Pegunigalsidase alfa	22	1,73 (2,66)	-0,66 (0,44) [-1,55; 0,22]	-0,69 (0,87) [-2,42; 1,04]	

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,6117							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	8	1,88 (3,36)	0,02 (0,74) [-1,45; 1,50]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.10 Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz'

3.3.2.1.10.1 ADA-Status zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,4830							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Negativ	Pegunigalsidase alfa	34	1,94 (2,86)	-	-	-
		Agalsidase beta	17	1,18 (2,35)			
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	18	1,39 (2,64)			
		Agalsidase beta	8	2,38 (3,46)			
Woche 52	Negativ	Pegunigalsidase alfa	29	1,79 (2,41)	0,08 (0,39) [-0,70; 0,86]	0,68 (0,68) [-0,66; 2,02]	0,3165
		Agalsidase beta	15	0,80 (2,34)	-0,60 (0,55) [-1,69; 0,48]		
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	16	1,62 (2,75)	0,28 (0,44) [-0,61; 1,17]	-0,05 (0,78) [-1,61; 1,52]	0,9543
		Agalsidase beta	8	2,62 (2,20)	0,32 (0,64) [-0,95; 1,60]		

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,4830							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.10.2 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,8732							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	33	1,82 (2,81)	-	-	-
		Agalsidase beta	19	1,21 (2,18)			
	> -5	Pegunigalsidase alfa	19	1,63 (2,77)			
		Agalsidase beta	6	2,67 (4,13)			
Woche 52	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	28	1,50 (2,13)	-0,11 (0,35) [-0,80; 0,59]	0,14 (0,57) [-0,99; 1,27]	0,8094
		Agalsidase beta	18	1,22 (2,39)	-0,25 (0,45) [-1,13; 0,64]		
	> -5	Pegunigalsidase alfa	17	2,12 (3,06)	0,36 (0,57) [-0,78; 1,50]	0,34 (1,16) [-1,97; 2,66]	0,7675
		Agalsidase beta	5	2,20 (2,59)	0,02 (1,01) [-2,00; 2,03]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.10.3 Klassifizierung des Morbus Fabry

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,8408							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	27	1,07 (2,22)	-	-	-
		Agalsidase beta	14	1,29 (2,30)			
	Nicht- klassisch	Pegunigalsidase alfa	25	2,48 (3,15)			
		Agalsidase beta	11	1,91 (3,30)			
Woche 52	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	22	1,64 (2,68)	0,45 (0,37) [-0,30; 1,19]	0,22 (0,62) [-1,00; 1,45]	0,7202
		Agalsidase beta	14	1,50 (2,03)	0,22 (0,49) [-0,76; 1,20]		
	Nicht- klassisch	Pegunigalsidase alfa	23	1,83 (2,39)	-0,26 (0,48) [-1,21; 0,69]	0,44 (0,88) [-1,30; 2,17]	0,6178
		Agalsidase beta	9	1,33 (3,04)	-0,70 (0,73) [-2,15; 0,75]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.10.4 Region

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,1302							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Europa	Pegunigalsidase alfa	19	1,58 (2,69)	-	-	-
		Agalsidase beta	7	0,43 (1,13)			

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,1302							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Woche 52	USA	Pegunigalsidase alfa	33	1,85 (2,85)			
		Agalsidase beta	18	2,00 (3,07)			
	Europa	Pegunigalsidase alfa	15	2,27 (3,39)	0,86 (0,61) [-0,35; 2,08]	1,32 (1,15) [-0,96; 3,61]	0,2526
		Agalsidase beta	7	0,00 (0,00)	-0,46 (0,97) [-2,39; 1,47]		
	USA	Pegunigalsidase alfa	30	1,47 (1,94)	-0,41 (0,31) [-1,02; 0,21]	-0,58 (0,52) [-1,62; 0,45]	0,2660
		Agalsidase beta	16	2,06 (2,67)	0,18 (0,42) [-0,65; 1,01]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.10.5 Geschlecht

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,7687							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Männlich	Pegunigalsidase alfa	29	1,10 (2,14)	-	-	-
		Agalsidase beta	18	1,83 (2,92)			
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	23	2,57 (3,27)			
		Agalsidase beta	7	0,86 (2,27)			

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,7687							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Woche 52	Männlich	Pegunigalsidase alfa	24	1,75 (2,61)	0,46 (0,36) [-0,24; 1,16]	0,69 (0,56) [-0,42; 1,80]	0,2237
		Agalsidase beta	17	1,41 (1,94)	-0,23 (0,43) [-1,08; 0,63]		
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	21	1,71 (2,45)	-0,21 (0,57) [-1,34; 0,91]	0,30 (1,18) [-2,05; 2,65]	
		Agalsidase beta	6	1,50 (3,67)	-0,52 (1,03) [-2,56; 1,53]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.10.6 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,1190							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Ja	Pegunigalsidase alfa	26	1,23 (2,42)	-	-	-
		Agalsidase beta	16	2,06 (3,02)			
	Nein	Pegunigalsidase alfa	26	2,27 (3,04)			
		Agalsidase beta	9	0,67 (2,00)			
Woche 52	Ja	Pegunigalsidase alfa	23	1,91 (2,63)	0,36 (0,40) [-0,42; 1,15]	0,77 (0,63) [-0,49; 2,02]	0,2300

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,1190							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	15	1,27 (1,79)	-0,40 (0,49) [-1,38; 0,57]		
	Nein	Pegunigalsidase alfa	22	1,55 (2,42)	-0,33 (0,48) [-1,27; 0,61]	-1,00 (0,93) [-2,85; 0,86]	0,2892
		Agalsidase beta	8	1,75 (3,41)	0,67 (0,80) [-0,91; 2,25]		
<p><i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i></p>							
<p>ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures</p>							

3.3.2.1.11 Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz'

3.3.2.1.11.1 ADA-Status zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,4284							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Negativ	Pegunigalsidase alfa	34	2,71 (3,24)	-	-	-
		Agalsidase beta	17	1,24 (2,77)			
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	18	1,83 (3,03)			
		Agalsidase beta	8	2,00 (2,20)			
Woche 52	Negativ	Pegunigalsidase alfa	29	2,28 (2,97)	-0,18 (0,35) [-0,88; 0,51]	0,49 (0,61) [-0,71; 1,70]	0,4194
Agalsidase beta		15	0,80 (2,08)	-0,68 (0,49) [-1,65; 0,29]			

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,4284							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	16	1,44 (2,13)	0,01 (0,63) [-1,24; 1,25]	-0,51 (1,10) [-2,70; 1,69]	0,6486
		Agalsidase beta	8	2,50 (3,12)	0,51 (0,91) [-1,30; 2,32]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.11.2 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,1563							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	33	2,55 (3,06)	-	-	-
		Agalsidase beta	19	1,16 (2,50)			
	> -5	Pegunigalsidase alfa	19	2,16 (3,42)			
		Agalsidase beta	6	2,50 (2,81)			
Woche 52	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	28	1,89 (2,53)	-0,29 (0,38) [-1,03; 0,45]	0,34 (0,61) [-0,86; 1,55]	0,5755
		Agalsidase beta	18	1,00 (2,06)	-0,63 (0,47) [-1,57; 0,30]		
	> -5	Pegunigalsidase alfa	17	2,12 (3,06)	0,03 (0,36) [-0,69; 0,74]	-1,01 (0,73) [-2,47; 0,45]	0,1728

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,1563							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	5	2,80 (3,83)	1,04 (0,64) [-0,24; 2,31]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.11.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,9719							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	28	2,43 (3,23)	-	-	-
		Agalsidase beta	11	2,27 (3,47)			
	≤60	Pegunigalsidase alfa	13	2,15 (2,58)			
		Agalsidase beta	8	0,62 (1,19)			
	>90	Pegunigalsidase alfa	11	2,64 (3,88)			
		Agalsidase beta	6	1,17 (1,83)			
Woche 52	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	26	1,65 (2,46)	-0,50 (0,40) [-1,28; 0,29]	-0,12 (0,78) [-1,65; 1,42]	0,8814
		Agalsidase beta	9	1,78 (3,27)	-0,38 (0,67) [-1,70; 0,94]		
	≤60	Pegunigalsidase alfa	10	2,50 (2,84)	0,14 (0,67) [-1,20; 1,48]	0,09 (1,05) [-2,01; 2,19]	0,9330

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,9719							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	8	1,00 (1,51)	0,05 (0,77) [-1,50; 1,60]		
	>90	Pegunigalsidase alfa	9	2,33 (3,39)	0,02 (0,53) [-1,04; 1,09]	0,15 (0,87) [-1,60; 1,90]	0,8645
		Agalsidase beta	6	1,33 (2,80)	-0,12 (0,68) [-1,50; 1,25]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.11.4 Klassifizierung des Morbus Fabry

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,5402							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	27	1,89 (2,93)	-	-	-
		Agalsidase beta	14	1,29 (1,90)			
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	25	2,96 (3,38)			
		Agalsidase beta	11	1,73 (3,35)			
Woche 52	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	22	1,77 (2,58)	-0,06 (0,43) [-0,92; 0,79]	-0,22 (0,71) [-1,62; 1,17]	0,7534
		Agalsidase beta	14	1,57 (2,59)	0,16 (0,56) [-0,94; 1,26]		

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,5402							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	23	2,17 (2,87)	-0,34 (0,41) [-1,15; 0,47]	0,41 (0,76) [-1,10; 1,92]	0,5880
		Agalsidase beta	9	1,11 (2,62)	-0,76 (0,64) [-2,02; 0,51]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.11.5 Region

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,7559							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Europa	Pegunigalsidase alfa	19	2,63 (3,15)	-	-	-
		Agalsidase beta	7	0,57 (1,51)			
	USA	Pegunigalsidase alfa	33	2,27 (3,22)			
		Agalsidase beta	18	1,83 (2,85)			
Woche 52	Europa	Pegunigalsidase alfa	15	2,00 (2,98)	-0,60 (0,52) [-1,64; 0,45]	0,25 (0,98) [-1,71; 2,20]	0,8022
		Agalsidase beta	7	0,14 (0,38)	-0,84 (0,82) [-2,47; 0,78]		
	USA	Pegunigalsidase alfa	30	1,97 (2,62)	-0,07 (0,33) [-0,72; 0,59]	-0,10 (0,56) [-1,22; 1,01]	

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,7559							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	16	1,94 (2,91)	0,04 (0,45) [-0,86; 0,93]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.11.6 Geschlecht

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,8148							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Männlich	Pegunigalsidase alfa	29	1,79 (2,85)	-	-	-
		Agalsidase beta	18	1,33 (2,09)			
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	23	3,17 (3,45)			
		Agalsidase beta	7	1,86 (3,76)			
Woche 52	Männlich	Pegunigalsidase alfa	24	1,75 (2,47)	0,05 (0,39) [-0,73; 0,83]	0,06 (0,62) [-1,16; 1,29]	0,9180
		Agalsidase beta	17	1,29 (2,42)	-0,02 (0,47) [-0,96; 0,92]		
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	21	2,24 (3,00)	-0,52 (0,47) [-1,44; 0,41]	0,33 (0,98) [-1,61; 2,28]	0,7329
		Agalsidase beta	6	1,67 (3,14)	-0,85 (0,86) [-2,55; 0,85]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,8148							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.11.7 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,4505							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Ja	Pegunigalsidase alfa	26	2,54 (3,26)	-	-	-
		Agalsidase beta	16	1,25 (2,08)			
	Nein	Pegunigalsidase alfa	26	2,27 (3,13)			
		Agalsidase beta	9	1,89 (3,41)			
Woche 52	Ja	Pegunigalsidase alfa	23	2,39 (2,84)	-0,02 (0,43) [-0,87; 0,84]	0,43 (0,70) [-0,95; 1,81]	0,5362
		Agalsidase beta	15	1,00 (2,04)	-0,45 (0,54) [-1,51; 0,61]		
	Nein	Pegunigalsidase alfa	22	1,55 (2,56)	-0,36 (0,38) [-1,10; 0,39]	-0,33 (0,73) [-1,77; 1,11]	0,6531
		Agalsidase beta	8	2,12 (3,36)	-0,03 (0,62) [-1,26; 1,21]		
Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.11.8 UPCR-Kategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): UPCR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,5061							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	0,5 < und < 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	9	1,22 (1,92)	-	-	-
		Agalsidase beta	2	2,00 (2,83)			
	≤ 0,5 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	36	2,64 (3,39)			
		Agalsidase beta	20	1,65 (2,76)			
	≥ 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	7	2,71 (3,30)			
		Agalsidase beta	3	0,00 (0,00)			
Woche 52	0,5 < und < 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	7	1,71 (2,21)	0,26 (0,88) [-1,60; 2,12]	2,10 (1,87) [-1,87; 6,07]	0,2781
		Agalsidase beta	2	0,00 (0,00)	-1,84 (1,66) [-5,35; 1,67]		
	≤ 0,5 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	32	2,16 (2,95)	-0,13 (0,33) [-0,77; 0,52]	-0,13 (0,54) [-1,20; 0,93]	0,8056
		Agalsidase beta	18	1,78 (2,78)	0,01 (0,43) [-0,84; 0,86]		
	≥ 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	6	1,33 (1,97)	-1,13 (0,80) [-2,80; 0,54]	-0,28 (1,40) [-3,21; 2,64]	0,8418
		Agalsidase beta	3	0,00 (0,00)	-0,85 (1,14) [-3,24; 1,55]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.12 Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz'

3.3.2.1.12.1 ADA-Status zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,6950							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Negativ	Pegunigalsidase alfa	34	2,47 (3,19)	-	-	-
		Agalsidase beta	17	1,47 (2,40)			
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	18	2,22 (3,12)			
		Agalsidase beta	8	2,50 (2,98)			
Woche 52	Negativ	Pegunigalsidase alfa	29	1,83 (2,70)	-0,48 (0,42) [-1,31; 0,35]	-0,09 (0,72) [-1,51; 1,33]	0,8979
		Agalsidase beta	15	1,07 (2,37)	-0,39 (0,58) [-1,54; 0,76]		
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	16	2,31 (2,96)	0,14 (0,42) [-0,69; 0,96]	-0,49 (0,72) [-1,93; 0,95]	0,4981
		Agalsidase beta	8	3,12 (3,18)	0,63 (0,59) [-0,55; 1,81]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.12.2 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,6455							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	33	2,36 (2,83)	-	-	-

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,6455							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	> -5	Agalsidase beta	19	1,74 (2,60)			
		Pegunigalsidase alfa	19	2,42 (3,70)			
		Agalsidase beta	6	2,00 (2,76)			
Woche 52	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	28	1,96 (2,78)	-0,13 (0,44) [-0,99; 0,74]	-0,06 (0,71) [-1,46; 1,35]	0,9377
		Agalsidase beta	18	1,83 (3,00)	-0,07 (0,56) [-1,17; 1,03]		
	> -5	Pegunigalsidase alfa	17	2,06 (2,84)	-0,56 (0,41) [-1,39; 0,26]	-0,56 (0,84) [-2,23; 1,11]	0,5056
		Agalsidase beta	5	1,60 (2,19)	0,00 (0,73) [-1,45; 1,45]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.12.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,2819							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	28	2,11 (2,70)	-	-	-
		Agalsidase beta	11	2,00 (3,00)			
	≤60	Pegunigalsidase alfa	13	1,92 (2,69)			

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,2819							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	>90	Agalsidase beta	8	2,62 (2,67)			
		Pegunigalsidase alfa	11	3,64 (4,43)			
		Agalsidase beta	6	0,33 (0,52)			
Woche 52	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	26	1,19 (1,79)	-0,85 (0,33) [-1,50; -0,21]	-0,81 (0,63) [-2,07; 0,44]	0,2014
		Agalsidase beta	9	1,78 (3,11)	-0,04 (0,54) [-1,11; 1,03]		
	≤60	Pegunigalsidase alfa	10	3,80 (3,58)	1,43 (0,81) [-0,20; 3,06]	1,40 (1,25) [-1,11; 3,91]	0,2693
		Agalsidase beta	8	2,62 (3,11)	0,03 (0,95) [-1,87; 1,94]		
	>90	Pegunigalsidase alfa	9	2,33 (3,39)	-0,72 (0,70) [-2,12; 0,69]	-0,65 (1,18) [-3,03; 1,72]	0,5814
		Agalsidase beta	6	0,67 (1,63)	-0,06 (0,94) [-1,97; 1,84]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.12.4 Klassifizierung des Morbus Fabry

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,1071							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	27	1,78 (2,71)	-	-	-
		Agalsidase beta	14	1,71 (2,16)			
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	25	3,04 (3,48)			
		Agalsidase beta	11	1,91 (3,14)			
Woche 52	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	22	2,27 (3,18)	0,56 (0,48) [-0,39; 1,52]	0,66 (0,80) [-0,92; 2,24]	0,4114
		Agalsidase beta	14	1,64 (2,37)	-0,10 (0,64) [-1,36; 1,17]		
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	23	1,74 (2,36)	-1,07 (0,40) [-1,87; -0,27]	-1,09 (0,74) [-2,55; 0,37]	0,1407
		Agalsidase beta	9	2,00 (3,50)	0,02 (0,61) [-1,20; 1,24]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.12.5 Region

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,0847							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Europa	Pegunigalsidase alfa	19	1,95 (2,70)	-	-	-
		Agalsidase beta	7	0,71 (1,89)			

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,0847							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Woche 52	USA	Pegunigalsidase alfa	33	2,64 (3,38)			
		Agalsidase beta	18	2,22 (2,73)			
	Europa	Pegunigalsidase alfa	15	2,67 (3,58)	0,81 (0,59) [-0,37; 1,99]	1,19 (1,11) [-1,02; 3,39]	0,2879
		Agalsidase beta	7	0,43 (0,79)	-0,37 (0,93) [-2,23; 1,48]		
	USA	Pegunigalsidase alfa	30	1,67 (2,26)	-0,87 (0,34) [-1,54; -0,20]	-0,96 (0,57) [-2,09; 0,17]	0,0939
		Agalsidase beta	16	2,38 (3,16)	0,09 (0,46) [-0,81; 0,99]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.12.6 Geschlecht

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,4014							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Männlich	Pegunigalsidase alfa	29	2,03 (3,03)	-	-	-
		Agalsidase beta	18	2,00 (2,47)			
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	23	2,83 (3,28)			
		Agalsidase beta	7	1,29 (2,98)			

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,4014							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Woche 52	Männlich	Pegunigalsidase alfa	24	2,33 (3,06)	0,31 (0,45) [-0,58; 1,20]	0,25 (0,71) [-1,16; 1,66]	0,7294
		Agalsidase beta	17	1,88 (2,55)	0,06 (0,55) [-1,03; 1,15]		
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	21	1,62 (2,42)	-0,97 (0,43) [-1,83; -0,11]	-0,72 (0,90) [-2,50; 1,07]	
		Agalsidase beta	6	1,50 (3,67)	-0,25 (0,78) [-1,81; 1,30]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.12.7 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,3707							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Ja	Pegunigalsidase alfa	26	2,15 (3,06)	-	-	-
		Agalsidase beta	16	2,19 (2,56)			
	Nein	Pegunigalsidase alfa	26	2,62 (3,26)			
		Agalsidase beta	9	1,11 (2,62)			
Woche 52	Ja	Pegunigalsidase alfa	23	2,35 (2,92)	0,06 (0,48) [-0,89; 1,01]	0,24 (0,76) [-1,27; 1,75]	0,7548

Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,3707							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	15	1,87 (2,61)	-0,18 (0,59) [-1,35; 0,99]		
	Nein	Pegunigalsidase alfa	22	1,64 (2,63)	-0,62 (0,40) [-1,43; 0,18]	-0,74 (0,79) [-2,31; 0,82]	0,3480
		Agalsidase beta	8	1,62 (3,29)	0,12 (0,67) [-1,22; 1,46]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.13 Veränderung gegenüber Baseline in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz'

3.3.2.1.13.1 ADA-Status zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,8085							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Negativ	Pegunigalsidase alfa	34	2,41 (2,61)	-	-	-
		Agalsidase beta	17	1,50 (2,40)			
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	18	2,02 (2,86)			
		Agalsidase beta	8	2,55 (2,45)			
Woche 52	Negativ	Pegunigalsidase alfa	29	1,82 (2,23)	-0,44 (0,29) [-1,02; 0,13]	0,07 (0,50) [-0,92; 1,07]	0,8882

Veränderung gegenüber Baseline in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,8085							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	15	1,06 (2,15)	-0,52 (0,41) [-1,32; 0,29]		
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	16	2,16 (2,77)	0,35 (0,47) [-0,58; 1,28]	-0,16 (0,82) [-1,79; 1,47]	0,8437
		Agalsidase beta	8	3,04 (2,60)	0,51 (0,67) [-0,83; 1,85]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.13.2 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,7118							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	33	2,41 (2,56)	-	-	-
		Agalsidase beta	19	1,57 (2,06)			
	> -5	Pegunigalsidase alfa	19	2,05 (2,93)			
		Agalsidase beta	6	2,69 (3,41)			
Woche 52	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	28	1,89 (2,24)	-0,27 (0,33) [-0,93; 0,38]	-0,05 (0,54) [-1,11; 1,02]	0,9322
		Agalsidase beta	18	1,57 (2,48)	-0,23 (0,42) [-1,06; 0,60]		

Veränderung gegenüber Baseline in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,7118							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	> -5	Pegunigalsidase alfa	17	2,03 (2,74)	-0,20 (0,34) [-0,87; 0,48]	-0,37 (0,69) [-1,75; 1,01]	0,5944
		Agalsidase beta	5	2,37 (2,52)	0,17 (0,60) [-1,03; 1,38]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.13.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,0757							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	28	2,21 (2,63)	-	-	-
		Agalsidase beta	11	2,34 (3,19)			
	≤60	Pegunigalsidase alfa	13	1,86 (2,04)			
		Agalsidase beta	8	2,11 (1,76)			
	>90	Pegunigalsidase alfa	11	2,94 (3,49)			
		Agalsidase beta	6	0,57 (0,89)			
Woche 52	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	26	1,27 (1,68)	-0,84 (0,30) [-1,44; -0,24]	-0,67 (0,59) [-1,83; 0,50]	0,2590

Veränderung gegenüber Baseline in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,0757							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	9	2,00 (2,93)	-0,18 (0,50) [-1,17; 0,82]	1,01 (0,56) [-0,12; 2,14]	0,0781
		Pegunigalsidase alfa	10	3,33 (2,76)	0,97 (0,37) [0,23; 1,71]		
	Agalsidase beta	8	2,07 (2,35)	-0,04 (0,42) [-0,89; 0,81]			
	Pegunigalsidase alfa	9	2,33 (3,26)	-0,35 (0,52) [-1,39; 0,70]			
	>90	Pegunigalsidase alfa	9	2,33 (3,26)	-0,35 (0,52) [-1,39; 0,70]	-0,73 (0,89) [-2,52; 1,07]	0,4198
		Agalsidase beta	6	0,93 (2,01)	0,38 (0,70) [-1,04; 1,80]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.13.4 Klassifizierung des Morbus Fabry

Veränderung gegenüber Baseline in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,8632							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	27	1,85 (2,54)	-	-	-
		Agalsidase beta	14	1,78 (1,96)			
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	25	2,74 (2,80)			
		Agalsidase beta	11	1,92 (3,01)			

Veränderung gegenüber Baseline in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,8632							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Woche 52	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	22	2,10 (2,68)	0,24 (0,33) [-0,41; 0,90]	0,05 (0,54) [-1,02; 1,13]	0,9226
		Agalsidase beta	14	1,98 (2,35)	0,19 (0,43) [-0,66; 1,04]		
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	23	1,79 (2,18)	-0,66 (0,36) [-1,39; 0,06]	-0,10 (0,67) [-1,43; 1,24]	
		Agalsidase beta	9	1,38 (2,72)	-0,57 (0,56) [-1,68; 0,55]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.13.5 Region

Veränderung gegenüber Baseline in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,1847							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Europa	Pegunigalsidase alfa	19	2,08 (2,58)	-	-	-
		Agalsidase beta	7	0,49 (0,89)			
	USA	Pegunigalsidase alfa	33	2,39 (2,76)			
		Agalsidase beta	18	2,37 (2,64)			
Woche 52	Europa	Pegunigalsidase alfa	15	2,49 (3,01)	0,37 (0,32) [-0,27; 1,02]	0,45 (0,61) [-0,77; 1,68]	0,4644

Veränderung gegenüber Baseline in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,1847							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	7	0,35 (0,57)	-0,08 (0,51) [-1,10; 0,94]		
	USA	Pegunigalsidase alfa	30	1,67 (2,06)	-0,62 (0,31) [-1,23; -0,01]	-0,61 (0,52) [-1,64; 0,41]	0,2376
		Agalsidase beta	16	2,36 (2,72)	-0,01 (0,42) [-0,83; 0,81]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.13.6 Geschlecht

Veränderung gegenüber Baseline in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,5964							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Männlich	Pegunigalsidase alfa	29	1,95 (2,55)	-	-	-
		Agalsidase beta	18	2,02 (2,32)			
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	23	2,70 (2,84)			
		Agalsidase beta	7	1,37 (2,80)			
Woche 52	Männlich	Pegunigalsidase alfa	24	2,17 (2,59)	0,21 (0,30) [-0,39; 0,81]	0,25 (0,48) [-0,70; 1,19]	0,6079
		Agalsidase beta	17	1,83 (2,19)	-0,04 (0,37) [-0,76; 0,69]		

Veränderung gegenüber Baseline in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,5964							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	21	1,67 (2,22)	-0,71 (0,42) [-1,54; 0,12]	-0,28 (0,88) [-2,02; 1,46]	0,7476
		Agalsidase beta	6	1,50 (3,33)	-0,42 (0,76) [-1,94; 1,09]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.1.13.7 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,3433							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Ja	Pegunigalsidase alfa	26	2,04 (2,50)	-	-	-
		Agalsidase beta	16	2,16 (2,41)			
	Nein	Pegunigalsidase alfa	26	2,52 (2,88)			
		Agalsidase beta	9	1,27 (2,47)			
Woche 52	Ja	Pegunigalsidase alfa	23	2,22 (2,34)	0,04 (0,32) [-0,59; 0,66]	0,26 (0,51) [-0,74; 1,26]	0,6134
		Agalsidase beta	15	1,74 (2,13)	-0,22 (0,39) [-1,00; 0,56]		
	Nein	Pegunigalsidase alfa	22	1,64 (2,50)	-0,49 (0,40) [-1,28; 0,31]	-0,63 (0,79) [-2,19; 0,93]	0,4250

Veränderung gegenüber Baseline in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz'							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,3433							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	8	1,75 (3,15)	0,14 (0,67) [-1,19; 1,47]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.2.2 Responderanalysen für den BPI-SF-Score

3.3.2.2.1 Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz' (Woche 52)

3.3.2.2.1.1 Region

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,6974						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	15	1 (6,7)	1,50 [0,07; 32,84]	1,55 [0,06; 42,91]	0,07 [-0,06; 0,19]	1,0000
Agalsidase beta	7	0 (0,0)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	30	11 (36,7)	2,93 [0,74; 11,65]	4,05 [0,77; 21,26]	0,24 [0,01; 0,48]	0,1006
Agalsidase beta	16	2 (12,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.1.2 eGFR-Kategorie zu Baseline

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,1476						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤60						
Pegunigalsidase alfa	9	1 (11,1)	2,10 [0,10; 44,40]	2,29 [0,08; 66,02]	0,11 [-0,09; 0,32]	1,0000
Agalsidase beta	6	0 (0,0)				
>90						
Pegunigalsidase alfa	26	11 (42,3)	8,52 [0,55; 131,52]	14,10 [0,74; 267,81]	0,42 [0,23; 0,61]	0,0331
Agalsidase beta	9	0 (0,0)				
60 < und ≤ 90						
Pegunigalsidase alfa	10	0 (0,0)	0,16 [0,01; 2,99]	0,12 [0,01; 3,01]	-0,25 [-0,55; 0,05]	0,183
Agalsidase beta	8	2 (25,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.1.3 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,8936						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	28	9 (32,1)	2,89 [0,70; 11,89]	3,79 [0,71; 20,14]	0,21 [-0,02; 0,44]	0,1596
Agalsidase beta	18	2 (11,1)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	17	3 (17,6)	2,33 [0,14; 38,97]	2,66 [0,12; 60,22]	0,18 [0,00; 0,36]	1,0000
Agalsidase beta	5	0 (0,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.1.4 ADA-Status zu Baseline

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,4405						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	29	9 (31,0)	4,66 [0,65; 33,37]	6,30 [0,72; 55,51]	0,24 [0,03; 0,45]	0,1271
Agalsidase beta	15	1 (6,7)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	16	3 (18,8)	1,50 [0,18; 12,22]	1,62 [0,14; 18,58]	0,06 [-0,24; 0,36]	1,0000
Agalsidase beta	8	1 (12,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.2 Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz' (Woche 52)

3.3.2.2.2.1 Region

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,9237						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	15	2 (13,3)	2,50 [0,14; 46,14]	2,78 [0,12; 65,79]	0,13 [-0,04; 0,31]	1,0000
Agalsidase beta	7	0 (0,0)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	30	8 (26,7)	2,13 [0,51; 8,88]	2,55 [0,47; 13,77]	0,14 [-0,08; 0,37]	0,4552
Agalsidase beta	16	2 (12,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.2 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,7923						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	28	8 (28,6)	2,57 [0,61; 10,77]	3,20 [0,59; 17,22]	0,17 [-0,05; 0,40]	0,2736
Agalsidase beta	18	2 (11,1)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	17	2 (11,8)	1,67 [0,09; 30,06]	1,77 [0,07; 43,02]	0,12 [-0,04; 0,27]	1,0000
Agalsidase beta	5	0 (0,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.3 Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz' (Woche 52)

3.3.2.2.3.1 Region

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,8239						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	15	2 (13,3)	0,93 [0,10; 8,65]	0,92 [0,07; 12,28]	-0,01 [-0,32; 0,30]	1,0000
Agalsidase beta	7	1 (14,3)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	30	7 (23,3)	1,24 [0,37; 4,17]	1,32 [0,29; 5,99]	0,05 [-0,20; 0,29]	1,0000
Agalsidase beta	16	3 (18,8)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.4 Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz' (Woche 52)

3.3.2.2.4.1 Region

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,9803						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	15	2 (13,3)	2,50 [0,14; 46,14]	2,78 [0,12; 65,79]	0,13 [-0,04; 0,31]	1,0000
Agalsidase beta	7	0 (0,0)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	30	9 (30,0)	2,40 [0,59; 9,80]	3,00 [0,56; 16,01]	0,17 [-0,06; 0,41]	0,2822
Agalsidase beta	16	2 (12,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel; Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.4.2 eGFR-Kategorie zu Baseline

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,4258						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤60						
Pegunigalsidase alfa	9	3 (33,3)	4,90 [0,30; 80,69]	7,00 [0,30; 164,39]	0,33 [0,03; 0,64]	0,2286
Agalsidase beta	6	0 (0,0)				
>90						
Pegunigalsidase alfa	26	8 (30,8)	1,38 [0,36; 5,35]	1,56 [0,26; 9,21]	0,09 [-0,24; 0,41]	1,0000
Agalsidase beta	9	2 (22,2)				
60 < und ≤ 90						
Pegunigalsidase alfa	10	0 (0,0)	-	-	0,00 [0,00; 0,00]	1,0000
Agalsidase beta	8	0 (0,0)				

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,4258						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.5 Responderanalyse für Verbesserung in 'durchschnittlicher Schmerz' (Woche 52)

3.3.2.2.5.1 Geschlecht

Responderanalyse für Verbesserung in 'durchschnittlicher Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,2029						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	21	7 (33,3)	4,77 [0,31; 73,43]	6,72 [0,33; 136,21]	0,33 [0,13; 0,53]	0,1548
Agalsidase beta	6	0 (0,0)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	24	5 (20,8)	0,71 [0,24; 2,07]	0,63 [0,15; 2,65]	-0,09 [-0,36; 0,18]	0,7143
Agalsidase beta	17	5 (29,4)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.5.2 Region

Responderanalyse für Verbesserung in 'durchschnittlicher Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,2079						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	15	2 (13,3)	0,47 [0,08; 2,67]	0,38 [0,04; 3,52]	-0,15 [-0,53; 0,22]	0,5646
Agalsidase beta	7	2 (28,6)				
USA						

Responderanalyse für Verbesserung in 'durchschnittlicher Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,2079						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	30	10 (33,3)	1,78	2,17	0,15	0,4929
Agalsidase beta	16	3 (18,8)	[0,57; 5,55]	[0,50; 9,40]	[-0,11; 0,40]	
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.5.3 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'durchschnittlicher Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,1686						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	28	5 (17,9)	0,64	0,57	-0,10	0,4802
Agalsidase beta	18	5 (27,8)	[0,22; 1,91]	[0,14; 2,32]	[-0,35; 0,15]	
> -5						
Pegunigalsidase alfa	17	7 (41,2)	5,00	7,86	0,41	0,1348
Agalsidase beta	5	0 (0,0)	[0,33; 75,11]	[0,37; 164,74]	[0,18; 0,65]	
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.5.4 ADA-Status zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'durchschnittlicher Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,5685						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	29	8 (27,6)	1,03	1,05	0,01	1,0000
Agalsidase beta	15	4 (26,7)	[0,37; 2,89]	[0,26; 4,27]	[-0,27; 0,29]	
Positiv						

Responderanalyse für Verbesserung in 'durchschnittlicher Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,5685						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	16	4 (25,0)	2,00 [0,27; 15,08]	2,33 [0,22; 25,24]	0,12 [-0,19; 0,44]	0,6311
Agalsidase beta	8	1 (12,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.6 Responderanalyse für Verbesserung in 'stärkster Schmerz' (Woche 52)

3.3.2.2.6.1 Geschlecht

Responderanalyse für Verbesserung in 'stärkster Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,4783						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	21	7 (33,3)	2,00 [0,30; 13,22]	2,50 [0,24; 25,72]	0,17 [-0,19; 0,53]	0,6334
Agalsidase beta	6	1 (16,7)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	24	8 (33,3)	0,94 [0,40; 2,23]	0,92 [0,25; 3,39]	-0,02 [-0,31; 0,28]	1,0000
Agalsidase beta	17	6 (35,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.6.2 Region

Responderanalyse für Verbesserung in 'stärkster Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,5554						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	15	4 (26,7)	1,87 [0,25; 13,78]	2,18 [0,20; 24,21]	0,12 [-0,22; 0,47]	1,0000
Agalsidase beta	7	1 (14,3)				

Responderanalyse für Verbesserung in 'stärkster Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,5554						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
USA						
Pegunigalsidase alfa	30	11 (36,7)	0,98 [0,44; 2,15]	0,96 [0,27; 3,39]	-0,01 [-0,30; 0,28]	1,0000
Agalsidase beta	16	6 (37,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.6.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'stärkster Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,4024						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤60						
Pegunigalsidase alfa	9	5 (55,6)	3,33 [0,51; 21,89]	6,25 [0,50; 77,49]	0,39 [-0,05; 0,83]	0,2867
Agalsidase beta	6	1 (16,7)				
>90						
Pegunigalsidase alfa	26	7 (26,9)	0,81 [0,26; 2,48]	0,74 [0,14; 3,78]	-0,06 [-0,42; 0,29]	0,6936
Agalsidase beta	9	3 (33,3)				
60 < und ≤ 90						
Pegunigalsidase alfa	10	3 (30,0)	0,80 [0,22; 2,94]	0,71 [0,10; 5,12]	-0,07 [-0,51; 0,36]	1,0000
Agalsidase beta	8	3 (37,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.6.4 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'stärkster Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,4882						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	28	10 (35,7)	1,29 [0,53; 3,15]	1,44 [0,40; 5,24]	0,08 [-0,19; 0,35]	0,7494
Agalsidase beta	18	5 (27,8)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	17	5 (29,4)	0,74 [0,20; 2,70]	0,62 [0,08; 4,96]	-0,11 [-0,59; 0,38]	1,0000
Agalsidase beta	5	2 (40,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.6.5 Klassifizierung des Morbus Fabry

Responderanalyse für Verbesserung in 'stärkster Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,7224						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	22	8 (36,4)	1,02 [0,42; 2,49]	1,03 [0,25; 4,16]	0,01 [-0,32; 0,33]	1,0000
Agalsidase beta	14	5 (35,7)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	23	7 (30,4)	1,37 [0,35; 5,39]	1,53 [0,25; 9,31]	0,08 [-0,25; 0,41]	1,0000
Agalsidase beta	9	2 (22,2)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.6.6 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'stärkster Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,3770						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	22	9 (40,9)	1,64 [0,45; 6,01]	2,08 [0,34; 12,72]	0,16 [-0,20; 0,52]	0,6722
Agalsidase beta	8	2 (25,0)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	23	6 (26,1)	0,78 [0,29; 2,11]	0,71 [0,17; 2,92]	-0,07 [-0,37; 0,23]	0,7219
Agalsidase beta	15	5 (33,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.6.7 ADA-Status zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'stärkster Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,5688						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	29	10 (34,5)	1,29 [0,49; 3,44]	1,45 [0,37; 5,74]	0,08 [-0,20; 0,36]	0,7384
Agalsidase beta	15	4 (26,7)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	16	5 (31,2)	0,83 [0,26; 2,64]	0,76 [0,13; 4,49]	-0,06 [-0,47; 0,34]	1,0000
Agalsidase beta	8	3 (37,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.7 Responderanalyse für Verbesserung in 'geringster Schmerz' (Woche 52)

3.3.2.2.7.1 Region

Responderanalyse für Verbesserung in 'geringster Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,7011						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	15	1 (6,7)	0,47 [0,03; 6,43]	0,43 [0,02; 8,04]	-0,08 [-0,36; 0,21]	1,0000
Agalsidase beta	7	1 (14,3)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	30	9 (30,0)	0,80 [0,35; 1,85]	0,71 [0,20; 2,56]	-0,07 [-0,36; 0,21]	0,7435
Agalsidase beta	16	6 (37,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.7.2 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'geringster Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,8863						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	28	7 (25,0)	0,75 [0,30; 1,87]	0,67 [0,18; 2,45]	-0,08 [-0,35; 0,19]	0,7383
Agalsidase beta	18	6 (33,3)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	17	3 (17,6)	0,88 [0,12; 6,73]	0,86 [0,07; 10,67]	-0,02 [-0,42; 0,37]	1,0000
Agalsidase beta	5	1 (20,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.7.3 Klassifizierung des Morbus Fabry

Responderanalyse für Verbesserung in 'geringster Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,4649						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	22	3 (13,6)	0,48 [0,13; 1,82]	0,39 [0,07; 2,12]	-0,15 [-0,43; 0,13]	0,3940
Agalsidase beta	14	4 (28,6)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	23	7 (30,4)	0,91 [0,30; 2,77]	0,88 [0,17; 4,54]	-0,03 [-0,39; 0,33]	1,0000
Agalsidase beta	9	3 (33,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.7.4 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'geringster Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,7137						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	22	5 (22,7)	0,91 [0,22; 3,78]	0,88 [0,13; 5,81]	-0,02 [-0,37; 0,32]	1,0000
Agalsidase beta	8	2 (25,0)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	23	5 (21,7)	0,65 [0,23; 1,87]	0,56 [0,13; 2,39]	-0,12 [-0,41; 0,18]	0,4726
Agalsidase beta	15	5 (33,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.7.5 ADA-Status zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'geringster Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,6206						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	29	8 (27,6)	0,83 [0,33; 2,09]	0,76 [0,20; 2,93]	-0,06 [-0,35; 0,23]	0,7367
Agalsidase beta	15	5 (33,3)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	16	2 (12,5)	0,50 [0,09; 2,93]	0,43 [0,05; 3,79]	-0,12 [-0,47; 0,22]	0,5784
Agalsidase beta	8	2 (25,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.8 Responderanalyse für Verbesserung in 'momentaner Schmerz' (Woche 52)

3.3.2.2.8.1 Geschlecht

Responderanalyse für Verbesserung in 'momentaner Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,6136						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	21	10 (47,6)	0,95 [0,38; 2,38]	0,91 [0,15; 5,58]	-0,02 [-0,48; 0,43]	1,0000
Agalsidase beta	6	3 (50,0)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	24	6 (25,0)	1,42 [0,41; 4,89]	1,56 [0,33; 7,34]	0,07 [-0,18; 0,32]	0,7113
Agalsidase beta	17	3 (17,6)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.8.2 Region

Responderanalyse für Verbesserung in 'momentaner Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,1393						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	15	4 (26,7)	0,62 [0,19; 2,06]	0,48 [0,07; 3,19]	-0,16 [-0,59; 0,27]	0,6302
Agalsidase beta	7	3 (42,9)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	30	12 (40,0)	2,13 [0,70; 6,47]	2,89 [0,68; 12,35]	0,21 [-0,05; 0,47]	0,1945
Agalsidase beta	16	3 (18,8)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.8.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'momentaner Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,3649						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤60						
Pegunigalsidase alfa	9	4 (44,4)	2,67 [0,39; 18,42]	4,00 [0,32; 49,60]	0,28 [-0,16; 0,72]	0,5804
Agalsidase beta	6	1 (16,7)				
>90						
Pegunigalsidase alfa	26	10 (38,5)	1,73 [0,46; 6,45]	2,19 [0,38; 12,70]	0,16 [-0,17; 0,49]	0,4496
Agalsidase beta	9	2 (22,2)				
60 < und ≤ 90						
Pegunigalsidase alfa	10	2 (20,0)	0,53 [0,12; 2,46]	0,42 [0,05; 3,43]	-0,17 [-0,59; 0,24]	0,6078
Agalsidase beta	8	3 (37,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.8.4 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'momentaner Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,8032						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	28	12 (42,9)	1,54 [0,65; 3,64]	1,95 [0,55; 6,97]	0,15 [-0,13; 0,43]	0,3607
Agalsidase beta	18	5 (27,8)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	17	4 (23,5)	1,18 [0,17; 8,28]	1,23 [0,11; 14,42]	0,04 [-0,37; 0,44]	1,0000
Agalsidase beta	5	1 (20,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.8.5 Klassifizierung des Morbus Fabry

Responderanalyse für Verbesserung in 'momentaner Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,1471						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	22	6 (27,3)	3,82 [0,51; 28,44]	4,88 [0,52; 45,79]	0,20 [-0,03; 0,43]	0,2093
Agalsidase beta	14	1 (7,1)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	23	10 (43,5)	0,78 [0,37; 1,65]	0,62 [0,13; 2,90]	-0,12 [-0,50; 0,26]	0,6989
Agalsidase beta	9	5 (55,6)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.8.6 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'momentaner Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,4639						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	22	8 (36,4)	0,97 [0,34; 2,78]	0,95 [0,18; 5,08]	-0,01 [-0,40; 0,38]	1,0000
Agalsidase beta	8	3 (37,5)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	23	8 (34,8)	1,74 [0,55; 5,53]	2,13 [0,46; 9,84]	0,15 [-0,13; 0,43]	0,4700
Agalsidase beta	15	3 (20,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.8.7 ADA-Status zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'momentaner Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,6221						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	29	12 (41,4)	1,55 [0,60; 3,99]	1,94 [0,50; 7,58]	0,15 [-0,14; 0,43]	0,5101
Agalsidase beta	15	4 (26,7)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	16	4 (25,0)	1,00 [0,23; 4,35]	1,00 [0,14; 7,10]	0,00 [-0,37; 0,37]	1,0000
Agalsidase beta	8	2 (25,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.9 Responderanalyse für Verbesserung in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz' (Woche 52)

3.3.2.2.9.1 Geschlecht

Responderanalyse für Verbesserung in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,4779						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	21	10 (47,6)	1,43 [0,42; 4,83]	1,82 [0,27; 12,17]	0,14 [-0,29; 0,58]	0,6618
Agalsidase beta	6	2 (33,3)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	24	7 (29,2)	0,83 [0,34; 2,02]	0,75 [0,20; 2,85]	-0,06 [-0,35; 0,23]	0,7417
Agalsidase beta	17	6 (35,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.9.2 Region

Responderanalyse für Verbesserung in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,7968						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	15	4 (26,7)	0,93 [0,22; 3,94]	0,91 [0,12; 6,71]	-0,02 [-0,42; 0,38]	1,0000
Agalsidase beta	7	2 (28,6)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	30	13 (43,3)	1,16 [0,54; 2,45]	1,27 [0,37; 4,42]	0,06 [-0,24; 0,35]	0,7618
Agalsidase beta	16	6 (37,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.9.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,2449						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤60						
Pegunigalsidase alfa	9	5 (55,6)	1,67 [0,47; 5,96]	2,50 [0,29; 21,40]	0,22 [-0,28; 0,72]	0,6084
Agalsidase beta	6	2 (33,3)				
>90						
Pegunigalsidase alfa	26	10 (38,5)	1,73 [0,46; 6,45]	2,19 [0,38; 12,70]	0,16 [-0,17; 0,49]	0,4496
Agalsidase beta	9	2 (22,2)				
60 < und ≤ 90						
Pegunigalsidase alfa	10	2 (20,0)	0,40 [0,10; 1,66]	0,25 [0,03; 2,00]	-0,30 [-0,73; 0,13]	0,3213
Agalsidase beta	8	4 (50,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.9.4 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,5862						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	28	11 (39,3)	1,01 [0,48; 2,12]	1,02 [0,30; 3,42]	0,00 [-0,28; 0,29]	1,0000
Agalsidase beta	18	7 (38,9)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	17	6 (35,3)	1,76 [0,27; 11,42]	2,18 [0,20; 24,21]	0,15 [-0,26; 0,57]	1,0000
Agalsidase beta	5	1 (20,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.9.5 Klassifizierung des Morbus Fabry

Responderanalyse für Verbesserung in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,8503						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	22	7 (31,8)	1,11 [0,40; 3,12]	1,17 [0,27; 5,05]	0,03 [-0,27; 0,34]	1,0000
Agalsidase beta	14	4 (28,6)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	23	10 (43,5)	0,98 [0,41; 2,33]	0,96 [0,20; 4,54]	-0,01 [-0,39; 0,37]	1,0000
Agalsidase beta	9	4 (44,4)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.9.6 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,6873						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	22	10 (45,5)	1,21 [0,44; 3,31]	1,39 [0,26; 7,30]	0,08 [-0,32; 0,47]	1,0000
Agalsidase beta	8	3 (37,5)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	23	7 (30,4)	0,91 [0,35; 2,35]	0,88 [0,22; 3,52]	-0,03 [-0,33; 0,27]	1,0000
Agalsidase beta	15	5 (33,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.9.7 ADA-Status zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,8920						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	29	13 (44,8)	1,12 [0,53; 2,35]	1,22 [0,34; 4,32]	0,05 [-0,26; 0,36]	1,0000
Agalsidase beta	15	6 (40,0)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	16	4 (25,0)	1,00 [0,23; 4,35]	1,00 [0,14; 7,10]	0,00 [-0,37; 0,37]	1,0000
Agalsidase beta	8	2 (25,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.10 Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz' (Woche 52)

3.3.2.2.10.1 Geschlecht

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,8422						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	21	11 (52,4)	3,14 [0,50; 19,69]	5,50 [0,55; 55,49]	0,36 [-0,01; 0,72]	0,1819
Agalsidase beta	6	1 (16,7)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	24	7 (29,2)	2,48 [0,59; 10,50]	3,09 [0,55; 17,21]	0,17 [-0,06; 0,41]	0,2623
Agalsidase beta	17	2 (11,8)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.10.2 Region

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,9351						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	15	2 (13,3)	2,50 [0,14; 46,14]	2,78 [0,12; 65,79]	0,13 [-0,04; 0,31]	1,0000
Agalsidase beta	7	0 (0,0)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	30	16 (53,3)	2,84 [0,97; 8,32]	4,95 [1,17; 21,03]	0,35 [0,08; 0,61]	0,0305
Agalsidase beta	16	3 (18,8)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.10.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,3049						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤60						
Pegunigalsidase alfa	9	3 (33,3)	2,00 [0,27; 14,98]	2,50 [0,19; 32,19]	0,17 [-0,26; 0,60]	0,6044
Agalsidase beta	6	1 (16,7)				
>90						
Pegunigalsidase alfa	26	13 (50,0)	10,00 [0,65; 153,00]	19,00 [1,00; 360,18]	0,50 [0,31; 0,69]	0,0131
Agalsidase beta	9	0 (0,0)				
60 < und ≤ 90						
Pegunigalsidase alfa	10	2 (20,0)	0,80 [0,14; 4,49]	0,75 [0,08; 6,96]	-0,05 [-0,44; 0,34]	1,0000
Agalsidase beta	8	2 (25,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.10.4 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,7283						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	28	12 (42,9)	2,57 [0,84; 7,87]	3,75 [0,88; 15,96]	0,26 [0,01; 0,51]	0,1068
Agalsidase beta	18	3 (16,7)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	17	6 (35,3)	4,33 [0,28; 66,05]	6,22 [0,29; 131,37]	0,35 [0,13; 0,58]	0,2663
Agalsidase beta	5	0 (0,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.10.5 Klassifizierung des Morbus Fabry

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,6892						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	22	6 (27,3)	3,82 [0,51; 28,44]	4,88 [0,52; 45,79]	0,20 [-0,03; 0,43]	0,2093
Agalsidase beta	14	1 (7,1)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	23	12 (52,2)	2,35 [0,65; 8,47]	3,82 [0,65; 22,45]	0,30 [-0,04; 0,64]	0,2349
Agalsidase beta	9	2 (22,2)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.10.6 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,9277						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	22	9 (40,9)	3,27 [0,49; 21,90]	4,85 [0,51; 46,49]	0,28 [-0,02; 0,59]	0,2103
Agalsidase beta	8	1 (12,5)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	23	9 (39,1)	2,93 [0,73; 11,75]	4,18 [0,76; 23,06]	0,26 [-0,01; 0,52]	0,1446
Agalsidase beta	15	2 (13,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.10.7 ADA-Status zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,4541						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	29	15 (51,7)	3,88 [1,02; 14,77]	6,96 [1,33; 36,53]	0,38 [0,13; 0,63]	0,0213
Agalsidase beta	15	2 (13,3)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	16	3 (18,8)	1,50 [0,18; 12,22]	1,62 [0,14; 18,58]	0,06 [-0,24; 0,36]	1,0000
Agalsidase beta	8	1 (12,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.11 Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz' (Woche 52)

3.3.2.2.11.1 Geschlecht

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,2251						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	21	9 (42,9)	2,57 [0,40; 16,45]	3,75 [0,37; 37,95]	0,26 [-0,10; 0,63]	0,3625
Agalsidase beta	6	1 (16,7)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	24	6 (25,0)	0,71 [0,28; 1,82]	0,61 [0,16; 2,38]	-0,10 [-0,39; 0,18]	0,5072
Agalsidase beta	17	6 (35,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.11.2 Region

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,8099						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	15	3 (20,0)	1,40 [0,18; 11,18]	1,50 [0,13; 17,67]	0,06 [-0,27; 0,39]	1,0000
Agalsidase beta	7	1 (14,3)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	30	12 (40,0)	1,07 [0,49; 2,30]	1,11 [0,32; 3,87]	0,03 [-0,27; 0,32]	1,0000
Agalsidase beta	16	6 (37,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.11.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,1022						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤60						
Pegunigalsidase alfa	9	2 (22,2)	1,33 [0,15; 11,64]	1,43 [0,10; 20,44]	0,06 [-0,35; 0,46]	1,0000
Agalsidase beta	6	1 (16,7)				
>90						
Pegunigalsidase alfa	26	11 (42,3)	3,81 [0,57; 25,50]	5,87 [0,64; 54,00]	0,31 [0,03; 0,59]	0,1211
Agalsidase beta	9	1 (11,1)				
60 < und ≤ 90						
Pegunigalsidase alfa	10	2 (20,0)	0,32 [0,08; 1,24]	0,15 [0,02; 1,24]	-0,42 [-0,84; -0,01]	0,1448
Agalsidase beta	8	5 (62,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.11.4 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,9987						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	28	11 (39,3)	1,18 [0,53; 2,62]	1,29 [0,37; 4,47]	0,06 [-0,22; 0,34]	0,7613
Agalsidase beta	18	6 (33,3)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	17	4 (23,5)	1,18 [0,17; 8,28]	1,23 [0,11; 14,42]	0,04 [-0,37; 0,44]	1,0000
Agalsidase beta	5	1 (20,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.11.5 Klassifizierung des Morbus Fabry

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,3202						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	22	6 (27,3)	0,76 [0,29; 2,03]	0,68 [0,16; 2,85]	-0,08 [-0,40; 0,23]	0,7159
Agalsidase beta	14	5 (35,7)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	23	9 (39,1)	1,76 [0,47; 6,62]	2,25 [0,38; 13,35]	0,17 [-0,17; 0,51]	0,4414
Agalsidase beta	9	2 (22,2)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.11.6 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,4572						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	22	6 (27,3)	2,18 [0,31; 15,43]	2,62 [0,26; 26,07]	0,15 [-0,15; 0,44]	0,6378
Agalsidase beta	8	1 (12,5)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	23	9 (39,1)	0,98 [0,44; 2,18]	0,96 [0,26; 3,65]	-0,01 [-0,33; 0,31]	1,0000
Agalsidase beta	15	6 (40,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.11.7 ADA-Status zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,1793						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	29	12 (41,4)	1,55 [0,60; 3,99]	1,94 [0,50; 7,58]	0,15 [-0,14; 0,43]	0,5101
Agalsidase beta	15	4 (26,7)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	16	3 (18,8)	0,50 [0,13; 1,94]	0,38 [0,06; 2,58]	-0,19 [-0,57; 0,20]	0,3618
Agalsidase beta	8	3 (37,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.12 Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz' (Woche 52)

3.3.2.2.12.1 Geschlecht

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,7714						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	21	6 (28,6)	1,71 [0,25; 11,61]	2,00 [0,19; 20,90]	0,12 [-0,24; 0,47]	1,0000
Agalsidase beta	6	1 (16,7)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	24	7 (29,2)	1,24 [0,43; 3,58]	1,34 [0,32; 5,56]	0,06 [-0,22; 0,33]	0,7364
Agalsidase beta	17	4 (23,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.12.2 Region

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,3418						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	15	3 (20,0)	0,70 [0,15; 3,29]	0,62 [0,08; 4,96]	-0,09 [-0,48; 0,31]	1,0000
Agalsidase beta	7	2 (28,6)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	30	10 (33,3)	1,78 [0,57; 5,55]	2,17 [0,50; 9,40]	0,15 [-0,11; 0,40]	0,4929
Agalsidase beta	16	3 (18,8)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.12.3 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,8540						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	28	9 (32,1)	1,45 [0,52; 4,00]	1,66 [0,42; 6,49]	0,10 [-0,16; 0,36]	0,5223
Agalsidase beta	18	4 (22,2)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	17	4 (23,5)	1,18 [0,17; 8,28]	1,23 [0,11; 14,42]	0,04 [-0,37; 0,44]	1,0000
Agalsidase beta	5	1 (20,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.12.4 Klassifizierung des Morbus Fabry

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,3530						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	22	6 (27,3)	0,95 [0,33; 2,79]	0,94 [0,21; 4,17]	-0,01 [-0,31; 0,29]	1,0000
Agalsidase beta	14	4 (28,6)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	23	7 (30,4)	2,74 [0,39; 19,22]	3,50 [0,36; 33,56]	0,19 [-0,09; 0,47]	0,3858
Agalsidase beta	9	1 (11,1)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.12.5 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,5667						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	22	6 (27,3)	2,18 [0,31; 15,43]	2,62 [0,26; 26,07]	0,15 [-0,15; 0,44]	0,6378
Agalsidase beta	8	1 (12,5)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	23	7 (30,4)	1,14 [0,40; 3,24]	1,20 [0,28; 5,12]	0,04 [-0,25; 0,33]	1,0000
Agalsidase beta	15	4 (26,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.12.6 ADA-Status zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung des Gehvermögens durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,6443						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	29	9 (31,0)	1,55 [0,49; 4,89]	1,80 [0,41; 7,99]	0,11 [-0,15; 0,37]	0,5000
Agalsidase beta	15	3 (20,0)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	16	4 (25,0)	1,00 [0,23; 4,35]	1,00 [0,14; 7,10]	0,00 [-0,37; 0,37]	1,0000
Agalsidase beta	8	2 (25,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.13 Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz' (Woche 52)

3.3.2.2.13.1 Geschlecht

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,4409						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	21	10 (47,6)	2,86 [0,45; 18,07]	4,55 [0,45; 45,86]	0,31 [-0,06; 0,68]	0,3497
Agalsidase beta	6	1 (16,7)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	24	9 (37,5)	1,27 [0,52; 3,13]	1,44 [0,38; 5,45]	0,08 [-0,21; 0,37]	0,7417
Agalsidase beta	17	5 (29,4)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.13.2 Region

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,8886						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	15	4 (26,7)	1,87 [0,25; 13,78]	2,18 [0,20; 24,21]	0,12 [-0,22; 0,47]	1,0000
Agalsidase beta	7	1 (14,3)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	30	15 (50,0)	1,60 [0,71; 3,60]	2,20 [0,61; 7,89]	0,19 [-0,10; 0,48]	0,3496
Agalsidase beta	16	5 (31,2)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.13.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,2305						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤60						
Pegunigalsidase alfa	9	5 (55,6)	7,70 [0,50; 117,97]	15,89 [0,69; 365,14]	0,56 [0,23; 0,88]	0,0440
Agalsidase beta	6	0 (0,0)				
>90						
Pegunigalsidase alfa	26	12 (46,1)	1,38 [0,50; 3,81]	1,71 [0,35; 8,37]	0,13 [-0,23; 0,49]	0,7003
Agalsidase beta	9	3 (33,3)				
60 < und ≤ 90						
Pegunigalsidase alfa	10	2 (20,0)	0,53 [0,12; 2,46]	0,42 [0,05; 3,43]	-0,17 [-0,59; 0,24]	0,6078
Agalsidase beta	8	3 (37,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.13.4 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,7809						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	28	12 (42,9)	1,54 [0,65; 3,64]	1,95 [0,55; 6,97]	0,15 [-0,13; 0,43]	0,3607
Agalsidase beta	18	5 (27,8)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	17	7 (41,2)	2,06 [0,33; 13,00]	2,80 [0,26; 30,70]	0,21 [-0,21; 0,63]	0,6130
Agalsidase beta	5	1 (20,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.13.5 Klassifizierung des Morbus Fabry

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,5284						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	22	8 (36,4)	1,27 [0,47; 3,45]	1,43 [0,34; 6,08]	0,08 [-0,23; 0,39]	0,7272
Agalsidase beta	14	4 (28,6)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	23	11 (47,8)	2,15 [0,59; 7,85]	3,21 [0,55; 18,87]	0,26 [-0,08; 0,60]	0,2491
Agalsidase beta	9	2 (22,2)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.13.6 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,2876						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	22	10 (45,5)	3,64 [0,55; 24,06]	5,83 [0,61; 55,74]	0,33 [0,02; 0,64]	0,1987
Agalsidase beta	8	1 (12,5)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	23	9 (39,1)	1,17 [0,49; 2,83]	1,29 [0,33; 5,02]	0,06 [-0,25; 0,37]	1,0000
Agalsidase beta	15	5 (33,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.13.7 ADA-Status zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung des normalen Arbeitens durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,6653						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	29	14 (48,3)	1,81 [0,72; 4,54]	2,57 [0,66; 9,97]	0,22 [-0,07; 0,50]	0,2083
Agalsidase beta	15	4 (26,7)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	16	5 (31,2)	1,25 [0,31; 5,08]	1,36 [0,20; 9,28]	0,06 [-0,31; 0,44]	1,0000
Agalsidase beta	8	2 (25,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.14 Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz' (Woche 52)

3.3.2.2.14.1 Region

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,7432						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	15	2 (13,3)	0,93 [0,10; 8,65]	0,92 [0,07; 12,28]	-0,01 [-0,32; 0,30]	1,0000
Agalsidase beta	7	1 (14,3)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	30	8 (26,7)	1,42 [0,44; 4,63]	1,58 [0,35; 7,02]	0,08 [-0,17; 0,33]	0,7223
Agalsidase beta	16	3 (18,8)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.14.2 eGFR-Kategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,1594						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤60						
Pegunigalsidase alfa	9	1 (11,1)	2,10 [0,10; 44,40]	2,29 [0,08; 66,02]	0,11 [-0,09; 0,32]	1,0000
Agalsidase beta	6	0 (0,0)				
>90						
Pegunigalsidase alfa	26	9 (34,6)	3,12 [0,46; 21,29]	4,24 [0,46; 39,40]	0,24 [-0,04; 0,51]	0,2346
Agalsidase beta	9	1 (11,1)				
60 < und ≤ 90						
Pegunigalsidase alfa	10	0 (0,0)	0,12 [0,01; 1,98]	0,07 [0,00; 1,72]	-0,38 [-0,71; -0,04]	0,0686
Agalsidase beta	8	3 (37,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,1594						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.14.3 ADA-Status zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,2192						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	29	8 (27,6)	2,07 [0,50; 8,55]	2,48 [0,45; 13,51]	0,14 [-0,09; 0,38]	0,4525
Agalsidase beta	15	2 (13,3)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	16	2 (12,5)	0,50 [0,09; 2,93]	0,43 [0,05; 3,79]	-0,12 [-0,47; 0,22]	0,5784
Agalsidase beta	8	2 (25,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.15 Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz' (Woche 52)

3.3.2.2.15.1 Geschlecht

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,3669						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	21	10 (47,6)	2,86 [0,45; 18,07]	4,55 [0,45; 45,86]	0,31 [-0,06; 0,68]	0,3497
Agalsidase beta	6	1 (16,7)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	24	6 (25,0)				1,0000

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,3669						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Agalsidase beta	17	4 (23,5)	1,06 [0,35; 3,20]	1,08 [0,25; 4,63]	0,01 [-0,25; 0,28]	
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.15.2 Region

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,8544						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	15	3 (20,0)	1,40 [0,18; 11,18]	1,50 [0,13; 17,67]	0,06 [-0,27; 0,39]	1,0000
Agalsidase beta	7	1 (14,3)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	30	13 (43,3)	1,73 [0,68; 4,45]	2,29 [0,60; 8,78]	0,18 [-0,09; 0,46]	0,3376
Agalsidase beta	16	4 (25,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.15.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,1446						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤60						
Pegunigalsidase alfa	9	3 (33,3)	2,00 [0,27; 14,98]	2,50 [0,19; 32,19]	0,17 [-0,26; 0,60]	0,6044
Agalsidase beta	6	1 (16,7)				
>90						

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,1446						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	26	12 (46,1)	4,15 [0,63; 27,60]	6,86 [0,75; 62,96]	0,35 [0,07; 0,63]	0,1094
Agalsidase beta	9	1 (11,1)				
60 < und ≤ 90						
Pegunigalsidase alfa	10	1 (10,0)	0,27 [0,03; 2,10]	0,19 [0,01; 2,29]	-0,28 [-0,66; 0,11]	0,2745
Agalsidase beta	8	3 (37,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.15.4 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,8660						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	28	11 (39,3)	1,77 [0,66; 4,71]	2,26 [0,59; 8,70]	0,17 [-0,09; 0,43]	0,3364
Agalsidase beta	18	4 (22,2)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	17	5 (29,4)	1,47 [0,22; 9,85]	1,67 [0,15; 18,87]	0,09 [-0,32; 0,51]	1,0000
Agalsidase beta	5	1 (20,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.15.5 Klassifizierung des Morbus Fabry

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,1340						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,1340						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	22	5 (22,7)	0,80 [0,26; 2,47]	0,74 [0,16; 3,39]	-0,06 [-0,35; 0,24]	0,7115
Agalsidase beta	14	4 (28,6)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	23	11 (47,8)	4,30 [0,65; 28,68]	7,33 [0,79; 68,48]	0,37 [0,08; 0,66]	0,1032
Agalsidase beta	9	1 (11,1)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.15.6 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,6185						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	22	7 (31,8)	2,55 [0,37; 17,58]	3,27 [0,33; 31,91]	0,19 [-0,11; 0,49]	0,3911
Agalsidase beta	8	1 (12,5)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	23	9 (39,1)	1,47 [0,55; 3,92]	1,77 [0,43; 7,30]	0,12 [-0,18; 0,42]	0,5015
Agalsidase beta	15	4 (26,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.15.7 ADA-Status zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,9225						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						

Responderanalyse für Verbesserung in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,9225						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	29	13 (44,8)	1,68	2,23	0,18	0,3329
Agalsidase beta	15	4 (26,7)	[0,66; 4,27]	[0,57; 8,69]	[-0,11; 0,47]	
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	16	3 (18,8)	1,50	1,62	0,06	1,0000
Agalsidase beta	8	1 (12,5)	[0,18; 12,22]	[0,14; 18,58]	[-0,24; 0,36]	
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.16 Responderanalyse für Verbesserung in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz' (Woche 52)

3.3.2.2.16.1 Geschlecht

Responderanalyse für Verbesserung in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,3056						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	21	12 (57,1)	1,71	2,67	0,24	0,3845
Agalsidase beta	6	2 (33,3)	[0,52; 5,64]	[0,40; 17,91]	[-0,19; 0,67]	
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	24	8 (33,3)	0,81	0,71	-0,08	0,7449
Agalsidase beta	17	7 (41,2)	[0,36; 1,80]	[0,20; 2,58]	[-0,38; 0,22]	
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.16.2 Region

Responderanalyse für Verbesserung in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,2457						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	15	4 (26,7)	0,62 [0,19; 2,06]	0,48 [0,07; 3,19]	-0,16 [-0,59; 0,27]	0,6302
Agalsidase beta	7	3 (42,9)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	30	16 (53,3)	1,42 [0,70; 2,91]	1,90 [0,55; 6,59]	0,16 [-0,14; 0,46]	0,3643
Agalsidase beta	16	6 (37,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.16.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,2483						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤60						
Pegunigalsidase alfa	9	4 (44,4)	2,67 [0,39; 18,42]	4,00 [0,32; 49,60]	0,28 [-0,16; 0,72]	0,5804
Agalsidase beta	6	1 (16,7)				
>90						
Pegunigalsidase alfa	26	14 (53,9)	1,21 [0,54; 2,73]	1,46 [0,32; 6,70]	0,09 [-0,28; 0,47]	0,7112
Agalsidase beta	9	4 (44,4)				
60 < und ≤ 90						
Pegunigalsidase alfa	10	2 (20,0)	0,40 [0,10; 1,66]	0,25 [0,03; 2,00]	-0,30 [-0,73; 0,13]	0,3213
Agalsidase beta	8	4 (50,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.16.4 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,6547						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	28	14 (50,0)	1,12 [0,60; 2,12]	1,25 [0,38; 4,10]	0,06 [-0,24; 0,35]	0,7693
Agalsidase beta	18	8 (44,4)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	17	6 (35,3)	1,76 [0,27; 11,42]	2,18 [0,20; 24,21]	0,15 [-0,26; 0,57]	1,0000
Agalsidase beta	5	1 (20,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.16.5 Klassifizierung des Morbus Fabry

Responderanalyse für Verbesserung in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,2174						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	22	7 (31,8)	0,74 [0,31; 1,75]	0,62 [0,16; 2,49]	-0,11 [-0,43; 0,21]	0,7230
Agalsidase beta	14	6 (42,9)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	23	13 (56,5)	1,70 [0,63; 4,57]	2,60 [0,52; 13,04]	0,23 [-0,14; 0,60]	0,4331
Agalsidase beta	9	3 (33,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.16.6 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,3726						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	22	10 (45,5)	1,82 [0,50; 6,57]	2,50 [0,41; 15,23]	0,20 [-0,16; 0,57]	0,4192
Agalsidase beta	8	2 (25,0)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	23	10 (43,5)	0,93 [0,46; 1,90]	0,88 [0,24; 3,25]	-0,03 [-0,36; 0,29]	1,0000
Agalsidase beta	15	7 (46,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.16.7 ADA-Status zu Baseline

Responderanalyse für Verbesserung in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,3151						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	29	16 (55,2)	1,38 [0,68; 2,78]	1,85 [0,52; 6,55]	0,15 [-0,16; 0,46]	0,5256
Agalsidase beta	15	6 (40,0)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	16	4 (25,0)	0,67 [0,19; 2,29]	0,56 [0,09; 3,44]	-0,12 [-0,52; 0,27]	0,6466
Agalsidase beta	8	3 (37,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.2.2.17 Responderanalyse für Verschlechterung in 'durchschnittlicher Schmerz' (Woche 52)

3.3.2.2.17.1 Geschlecht

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'durchschnittlicher Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,7342						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	21	6 (28,6)	0,86 [0,23; 3,20]	0,80 [0,11; 5,59]	-0,05 [-0,47; 0,38]	1,0000
Agalsidase beta	6	2 (33,3)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	24	8 (33,3)	1,13 [0,45; 2,87]	1,20 [0,31; 4,61]	0,04 [-0,25; 0,33]	1,0000
Agalsidase beta	17	5 (29,4)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.17.2 Region

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'durchschnittlicher Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,3426						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	15	7 (46,7)	1,63 [0,45; 5,93]	2,19 [0,32; 15,04]	0,18 [-0,24; 0,60]	0,6478
Agalsidase beta	7	2 (28,6)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	30	7 (23,3)	0,75 [0,28; 1,98]	0,67 [0,17; 2,59]	-0,08 [-0,35; 0,19]	0,7262
Agalsidase beta	16	5 (31,2)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.17.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'durchschnittlicher Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,1822						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ 60						
Pegunigalsidase alfa	9	1 (11,1)	0,67 [0,05; 8,73]	0,62 [0,03; 12,41]	-0,06 [-0,42; 0,31]	1,0000
Agalsidase beta	6	1 (16,7)				
> 90						
Pegunigalsidase alfa	26	8 (30,8)	0,55 [0,24; 1,26]	0,36 [0,07; 1,69]	-0,25 [-0,62; 0,12]	0,2427
Agalsidase beta	9	5 (55,6)				
60 < und ≤ 90						
Pegunigalsidase alfa	10	5 (50,0)	4,00 [0,58; 27,70]	7,00 [0,61; 79,87]	0,38 [-0,01; 0,76]	0,1516
Agalsidase beta	8	1 (12,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.17.4 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'durchschnittlicher Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,2805						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	28	8 (28,6)	1,29 [0,45; 3,65]	1,40 [0,35; 5,57]	0,06 [-0,19; 0,32]	0,7393
Agalsidase beta	18	4 (22,2)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	17	6 (35,3)	0,59 [0,22; 1,54]	0,36 [0,05; 2,82]	-0,25 [-0,73; 0,24]	0,6090
Agalsidase beta	5	3 (60,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.17.5 Klassifizierung des Morbus Fabry

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'durchschnittlicher Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,3977						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	22	6 (27,3)	0,76 [0,29; 2,03]	0,68 [0,16; 2,85]	-0,08 [-0,40; 0,23]	0,7159
Agalsidase beta	14	5 (35,7)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	23	8 (34,8)	1,57 [0,41; 6,00]	1,87 [0,31; 11,19]	0,13 [-0,21; 0,46]	0,6808
Agalsidase beta	9	2 (22,2)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.17.6 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'durchschnittlicher Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,1333						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	22	4 (18,2)	0,48 [0,14; 1,71]	0,37 [0,06; 2,23]	-0,19 [-0,57; 0,18]	0,3446
Agalsidase beta	8	3 (37,5)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	23	10 (43,5)	1,63 [0,62; 4,26]	2,12 [0,52; 8,67]	0,17 [-0,13; 0,47]	0,3293
Agalsidase beta	15	4 (26,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.17.7 ADA-Status zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'durchschnittlicher Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,1398						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	29	8 (27,6)	2,07 [0,50; 8,55]	2,48 [0,45; 13,51]	0,14 [-0,09; 0,38]	0,4525
Agalsidase beta	15	2 (13,3)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	16	6 (37,5)	0,60 [0,26; 1,38]	0,36 [0,06; 2,08]	-0,25 [-0,66; 0,16]	0,3905
Agalsidase beta	8	5 (62,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.18 Responderanalyse für Verschlechterung in 'stärkster Schmerz' (Woche 52)

3.3.2.2.18.1 Geschlecht

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'stärkster Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,7702						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	21	4 (19,1)	1,14 [0,16; 8,40]	1,18 [0,11; 13,07]	0,02 [-0,32; 0,37]	1,0000
Agalsidase beta	6	1 (16,7)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	24	9 (37,5)	1,59 [0,59; 4,33]	1,95 [0,48; 7,85]	0,14 [-0,14; 0,42]	0,4986
Agalsidase beta	17	4 (23,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.18.2 Region

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'stärkster Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,1756						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	15	2 (13,3)	0,47 [0,08; 2,67]	0,38 [0,04; 3,52]	-0,15 [-0,53; 0,22]	0,5646
Agalsidase beta	7	2 (28,6)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	30	11 (36,7)	1,96 [0,64; 6,01]	2,51 [0,58; 10,79]	0,18 [-0,08; 0,44]	0,3161
Agalsidase beta	16	3 (18,8)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.18.3 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'stärkster Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,6823						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	28	7 (25,0)	1,12 [0,38; 3,30]	1,17 [0,29; 4,74]	0,03 [-0,22; 0,28]	1,0000
Agalsidase beta	18	4 (22,2)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	17	6 (35,3)	1,76 [0,27; 11,42]	2,18 [0,20; 24,21]	0,15 [-0,26; 0,57]	1,0000
Agalsidase beta	5	1 (20,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.18.4 Klassifizierung des Morbus Fabry

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'stärkster Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,5586						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	22	8 (36,4)	1,70 [0,54; 5,33]	2,10 [0,45; 9,81]	0,15 [-0,14; 0,44]	0,4672
Agalsidase beta	14	3 (21,4)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	23	5 (21,7)	0,98 [0,23; 4,16]	0,97 [0,15; 6,23]	0,00 [-0,32; 0,31]	1,0000
Agalsidase beta	9	2 (22,2)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.18.5 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'stärkster Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,7344						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	22	3 (13,6)	1,09 [0,13; 9,03]	1,11 [0,10; 12,47]	0,01 [-0,26; 0,28]	1,0000
Agalsidase beta	8	1 (12,5)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	23	10 (43,5)	1,63 [0,62; 4,26]	2,12 [0,52; 8,67]	0,17 [-0,13; 0,47]	0,3293
Agalsidase beta	15	4 (26,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.18.6 ADA-Status zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'stärkster Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,8140						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	29	7 (24,1)	1,21 [0,36; 4,01]	1,27 [0,28; 5,85]	0,04 [-0,21; 0,30]	1,0000
Agalsidase beta	15	3 (20,0)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	16	6 (37,5)	1,50 [0,39; 5,83]	1,80 [0,27; 11,96]	0,12 [-0,26; 0,51]	0,6674
Agalsidase beta	8	2 (25,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.19 Responderanalyse für Verschlechterung in 'geringster Schmerz' (Woche 52)

3.3.2.2.19.1 Geschlecht

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'geringster Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,9147						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	21	2 (9,5)	1,59 [0,09; 29,34]	1,67 [0,07; 39,42]	0,10 [-0,03; 0,22]	1,0000
Agalsidase beta	6	0 (0,0)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	24	8 (33,3)	1,89 [0,58; 6,10]	2,33 [0,52; 10,55]	0,16 [-0,10; 0,42]	0,3092
Agalsidase beta	17	3 (17,6)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.19.2 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'geringster Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,7777						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	28	7 (25,0)	1,50 [0,44; 5,06]	1,67 [0,37; 7,52]	0,08 [-0,15; 0,32]	0,7172
Agalsidase beta	18	3 (16,7)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	17	3 (17,6)	2,33 [0,14; 38,97]	2,66 [0,12; 60,22]	0,18 [0,00; 0,36]	1,0000
Agalsidase beta	5	0 (0,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.19.3 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'geringster Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,7099						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	22	3 (13,6)	2,74 [0,16; 47,89]	3,05 [0,14; 65,78]	0,14 [-0,01; 0,28]	0,5448
Agalsidase beta	8	0 (0,0)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	23	7 (30,4)	1,52 [0,46; 4,98]	1,75 [0,37; 8,21]	0,10 [-0,17; 0,38]	0,7085
Agalsidase beta	15	3 (20,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.20 Responderanalyse für Verschlechterung in 'momentaner Schmerz' (Woche 52)

3.3.2.2.20.1 Geschlecht

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'momentaner Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,3307						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	21	5 (23,8)	3,50 [0,22; 55,70]	4,33 [0,21; 90,05]	0,24 [0,06; 0,42]	0,5552
Agalsidase beta	6	0 (0,0)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	24	7 (29,2)	0,83 [0,34; 2,02]	0,75 [0,20; 2,85]	-0,06 [-0,35; 0,23]	0,7417
Agalsidase beta	17	6 (35,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.20.2 Region

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'momentaner Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,1425						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	15	5 (33,3)	5,50 [0,35; 87,59]	7,86 [0,37; 164,74]	0,33 [0,09; 0,57]	0,1348
Agalsidase beta	7	0 (0,0)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	30	7 (23,3)	0,62 [0,25; 1,54]	0,51 [0,14; 1,90]	-0,14 [-0,42; 0,14]	0,3276
Agalsidase beta	16	6 (37,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.20.3 Klassifizierung des Morbus Fabry

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'momentaner Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,1514						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	22	6 (27,3)	0,64 [0,26; 1,58]	0,50 [0,12; 2,06]	-0,16 [-0,47; 0,16]	0,4715
Agalsidase beta	14	6 (42,9)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	23	6 (26,1)	5,42 [0,34; 87,33]	7,06 [0,36; 139,35]	0,26 [0,08; 0,44]	0,1499
Agalsidase beta	9	0 (0,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.20.4 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'momentaner Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,9499						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	22	3 (13,6)	1,09 [0,13; 9,03]	1,11 [0,10; 12,47]	0,01 [-0,26; 0,28]	1,0000
Agalsidase beta	8	1 (12,5)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	23	9 (39,1)	1,17 [0,49; 2,83]	1,29 [0,33; 5,02]	0,06 [-0,25; 0,37]	1,0000
Agalsidase beta	15	5 (33,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.20.5 ADA-Status zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'momentaner Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,0771						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	29	7 (24,1)	3,62 [0,49; 26,76]	4,45 [0,49; 40,20]	0,17 [-0,03; 0,38]	0,2308
Agalsidase beta	15	1 (6,7)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	16	5 (31,2)	0,50 [0,20; 1,23]	0,27 [0,05; 1,62]	-0,31 [-0,72; 0,09]	0,2038
Agalsidase beta	8	5 (62,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.21 Responderanalyse für Verschlechterung in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz' (Woche 52)

3.3.2.2.21.1 Geschlecht

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,6785						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	21	7 (33,3)	2,00 [0,30; 13,22]	2,50 [0,24; 25,72]	0,17 [-0,19; 0,53]	0,6334
Agalsidase beta	6	1 (16,7)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	24	11 (45,8)	1,30 [0,60; 2,82]	1,55 [0,43; 5,57]	0,11 [-0,20; 0,41]	0,5387
Agalsidase beta	17	6 (35,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.21.2 Region

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,6765						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	15	7 (46,7)	1,63 [0,45; 5,93]	2,19 [0,32; 15,04]	0,18 [-0,24; 0,60]	0,6478
Agalsidase beta	7	2 (28,6)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	30	11 (36,7)	1,17 [0,49; 2,79]	1,27 [0,35; 4,64]	0,05 [-0,23; 0,34]	0,7573
Agalsidase beta	16	5 (31,2)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.21.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,6768						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ 60						
Pegunigalsidase alfa	9	1 (11,1)	0,67 [0,05; 8,73]	0,62 [0,03; 12,41]	-0,06 [-0,42; 0,31]	1,0000
Agalsidase beta	6	1 (16,7)				
> 90						
Pegunigalsidase alfa	26	10 (38,5)	1,15 [0,41; 3,28]	1,25 [0,25; 6,16]	0,05 [-0,31; 0,41]	1,0000
Agalsidase beta	9	3 (33,3)				
60 < und ≤ 90						
Pegunigalsidase alfa	10	7 (70,0)	1,87 [0,70; 4,99]	3,89 [0,54; 27,87]	0,32 [-0,11; 0,76]	0,3416
Agalsidase beta	8	3 (37,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.1.4 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,6776						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	28	11 (39,3)	1,41 [0,59; 3,40]	1,68 [0,47; 6,05]	0,12 [-0,16; 0,39]	0,5326
Agalsidase beta	18	5 (27,8)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	17	7 (41,2)	1,03 [0,31; 3,47]	1,05 [0,14; 8,02]	0,01 [-0,48; 0,50]	1,0000
Agalsidase beta	5	2 (40,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.1.5 Klassifizierung des Morbus Fabry

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,2168						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	22	9 (40,9)	0,95 [0,43; 2,10]	0,92 [0,24; 3,59]	-0,02 [-0,35; 0,31]	1,0000
Agalsidase beta	14	6 (42,9)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	23	9 (39,1)	3,52 [0,52; 23,95]	5,14 [0,55; 48,37]	0,28 [-0,01; 0,57]	0,2100
Agalsidase beta	9	1 (11,1)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.1.6 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,4550						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	22	5 (22,7)	0,91 [0,22; 3,78]	0,88 [0,13; 5,81]	-0,02 [-0,37; 0,32]	1,0000
Agalsidase beta	8	2 (25,0)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	23	13 (56,5)	1,70 [0,76; 3,78]	2,60 [0,67; 10,06]	0,23 [-0,08; 0,54]	0,1983
Agalsidase beta	15	5 (33,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.1.7 ADA-Status zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in Schmerz-Summenskala 'gesamter Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,0809						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	29	11 (37,9)	2,84 [0,72; 11,21]	3,97 [0,75; 21,04]	0,25 [0,00; 0,49]	0,1624
Agalsidase beta	15	2 (13,3)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	16	7 (43,8)	0,70 [0,32; 1,52]	0,47 [0,08; 2,66]	-0,19 [-0,60; 0,23]	0,6668
Agalsidase beta	8	5 (62,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.22 Responderanalyse für Verschlechterung in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz' (Woche 52)

3.3.2.2.22.1 Geschlecht

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,3921						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	21	3 (14,3)	2,23 [0,13; 38,06]	2,46 [0,11; 54,32]	0,14 [-0,01; 0,29]	1,0000
Agalsidase beta	6	0 (0,0)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	24	6 (25,0)	0,61 [0,25; 1,49]	0,48 [0,13; 1,81]	-0,16 [-0,45; 0,13]	0,3220
Agalsidase beta	17	7 (41,2)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.22.2 Region

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,1004						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	15	5 (33,3)	2,33 [0,33; 16,41]	3,00 [0,28; 32,21]	0,19 [-0,16; 0,54]	0,6158
Agalsidase beta	7	1 (14,3)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	30	4 (13,3)	0,36 [0,12; 1,08]	0,26 [0,06; 1,10]	-0,24 [-0,51; 0,02]	0,0741
Agalsidase beta	16	6 (37,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.22.3 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,1655						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	28	6 (21,4)	0,96 [0,32; 2,95]	0,95 [0,23; 4,00]	-0,01 [-0,25; 0,24]	1,0000
Agalsidase beta	18	4 (22,2)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	17	3 (17,6)	0,29 [0,08; 1,03]	0,14 [0,02; 1,26]	-0,42 [-0,89; 0,04]	0,1005
Agalsidase beta	5	3 (60,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.22.4 Klassifizierung des Morbus Fabry

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,1647						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	22	5 (22,7)	0,45 [0,18; 1,15]	0,29 [0,07; 1,25]	-0,27 [-0,59; 0,04]	0,1478
Agalsidase beta	14	7 (50,0)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	23	4 (17,4)	3,75 [0,22; 63,36]	4,38 [0,21; 90,11]	0,17 [0,02; 0,33]	0,3035
Agalsidase beta	9	0 (0,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.22.5 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,6621						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	22	3 (13,6)	1,09 [0,13; 9,03]	1,11 [0,10; 12,47]	0,01 [-0,26; 0,28]	1,0000
Agalsidase beta	8	1 (12,5)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	23	6 (26,1)	0,65 [0,26; 1,65]	0,53 [0,13; 2,13]	-0,14 [-0,45; 0,17]	0,4809
Agalsidase beta	15	6 (40,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.22.6 ADA-Status zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung der allgemeinen Aktivität durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,4334						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	29	4 (13,8)	1,03 [0,21; 5,02]	1,04 [0,17; 6,45]	0,00 [-0,21; 0,22]	1,0000
Agalsidase beta	15	2 (13,3)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	16	5 (31,2)	0,50 [0,20; 1,23]	0,27 [0,05; 1,62]	-0,31 [-0,72; 0,09]	0,2038
Agalsidase beta	8	5 (62,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.23 Responderanalyse für Verschlechterung in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz' (Woche 52)

3.3.2.2.23.1 Region

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung der Stimmung durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,4082						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	15	4 (26,7)	4,50 [0,27; 73,69]	5,87 [0,27; 125,58]	0,27 [0,04; 0,49]	0,2632
Agalsidase beta	7	0 (0,0)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	30	7 (23,3)	1,24 [0,37; 4,17]	1,32 [0,29; 5,99]	0,05 [-0,20; 0,29]	1,0000
Agalsidase beta	16	3 (18,8)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.24 Responderanalyse für Verschlechterung in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz' (Woche 52)

3.3.2.2.24.1 Geschlecht

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,8333						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	21	5 (23,8)	1,43 [0,20; 10,00]	1,56 [0,15; 16,72]	0,07 [-0,28; 0,42]	1,0000
Agalsidase beta	6	1 (16,7)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	24	8 (33,3)	1,13 [0,45; 2,87]	1,20 [0,31; 4,61]	0,04 [-0,25; 0,33]	1,0000
Agalsidase beta	17	5 (29,4)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,8333						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.24.2 Region

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,1669						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	15	5 (33,3)	5,50 [0,35; 87,59]	7,86 [0,37; 164,74]	0,33 [0,09; 0,57]	0,1348
Agalsidase beta	7	0 (0,0)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	30	8 (26,7)	0,71 [0,30; 1,69]	0,61 [0,17; 2,21]	-0,11 [-0,39; 0,18]	0,5115
Agalsidase beta	16	6 (37,5)				
Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher, Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.24.3 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,5116						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	28	8 (28,6)	1,29 [0,45; 3,65]	1,40 [0,35; 5,57]	0,06 [-0,19; 0,32]	0,7393
Agalsidase beta	18	4 (22,2)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	17	5 (29,4)				1,0000

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,5116						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Agalsidase beta	5	2 (40,0)	0,74 [0,20; 2,70]	0,62 [0,08; 4,96]	-0,11 [-0,59; 0,38]	
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.4.4 Klassifizierung des Morbus Fabry

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,2510						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	22	6 (27,3)	0,76 [0,29; 2,03]	0,68 [0,16; 2,85]	-0,08 [-0,40; 0,23]	0,7159
Agalsidase beta	14	5 (35,7)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	23	7 (30,4)	2,74 [0,39; 19,22]	3,50 [0,36; 33,56]	0,19 [-0,09; 0,47]	0,3858
Agalsidase beta	9	1 (11,1)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.4.5 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,6854						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	22	5 (22,7)	0,91 [0,22; 3,78]	0,88 [0,13; 5,81]	-0,02 [-0,37; 0,32]	1,0000
Agalsidase beta	8	2 (25,0)				

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,6854						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Ja						
Pegunigalsidase alfa	23	8 (34,8)	1,30 [0,48; 3,58]	1,47 [0,35; 6,13]	0,08 [-0,22; 0,38]	0,7281
Agalsidase beta	15	4 (26,7)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.24.6 ADA-Status zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung der Beziehungen durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,0899						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	29	9 (31,0)	2,33 [0,57; 9,44]	2,92 [0,54; 15,75]	0,18 [-0,06; 0,42]	0,2816
Agalsidase beta	15	2 (13,3)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	16	4 (25,0)	0,50 [0,17; 1,50]	0,33 [0,06; 1,99]	-0,25 [-0,66; 0,16]	0,3625
Agalsidase beta	8	4 (50,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.25 Responderanalyse für Verschlechterung in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz' (Woche 52)

3.3.2.2.25.1 Geschlecht

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,7714						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	21	6 (28,6)	1,71 [0,25; 11,61]	2,00 [0,19; 20,90]	0,12 [-0,24; 0,47]	1,0000
Agalsidase beta	6	1 (16,7)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	24	7 (29,2)	1,24 [0,43; 3,58]	1,34 [0,32; 5,56]	0,06 [-0,22; 0,33]	0,7364
Agalsidase beta	17	4 (23,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.25.2 Region

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,9668						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	15	3 (20,0)	1,40 [0,18; 11,18]	1,50 [0,13; 17,67]	0,06 [-0,27; 0,39]	1,0000
Agalsidase beta	7	1 (14,3)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	30	10 (33,3)	1,33 [0,50; 3,58]	1,50 [0,38; 5,86]	0,08 [-0,19; 0,35]	0,7395
Agalsidase beta	16	4 (25,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.25.3 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,3464						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	28	8 (28,6)	1,71 [0,52; 5,62]	2,00 [0,45; 8,84]	0,12 [-0,12; 0,36]	0,4865
Agalsidase beta	18	3 (16,7)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	17	5 (29,4)	0,74 [0,20; 2,70]	0,62 [0,08; 4,96]	-0,11 [-0,59; 0,38]	1,0000
Agalsidase beta	5	2 (40,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.25.4 Klassifizierung des Morbus Fabry

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,3530						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	22	6 (27,3)	0,95 [0,33; 2,79]	0,94 [0,21; 4,17]	-0,01 [-0,31; 0,29]	1,0000
Agalsidase beta	14	4 (28,6)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	23	7 (30,4)	2,74 [0,39; 19,22]	3,50 [0,36; 33,56]	0,19 [-0,09; 0,47]	0,3858
Agalsidase beta	9	1 (11,1)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.25.5 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,4887						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	22	5 (22,7)	0,91 [0,22; 3,78]	0,88 [0,13; 5,81]	-0,02 [-0,37; 0,32]	1,0000
Agalsidase beta	8	2 (25,0)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	23	8 (34,8)	1,74 [0,55; 5,53]	2,13 [0,46; 9,84]	0,15 [-0,13; 0,43]	0,4700
Agalsidase beta	15	3 (20,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.25.6 ADA-Status zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung des Schlafs durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,0524						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	29	9 (31,0)	4,66 [0,65; 33,37]	6,30 [0,72; 55,51]	0,24 [0,03; 0,45]	0,1271
Agalsidase beta	15	1 (6,7)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	16	4 (25,0)	0,50 [0,17; 1,50]	0,33 [0,06; 1,99]	-0,25 [-0,66; 0,16]	0,3625
Agalsidase beta	8	4 (50,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.26 Responderanalyse für Verschlechterung in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz' (Woche 52)

3.3.2.2.26.1 Geschlecht

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,8577						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	21	3 (14,3)	0,86 [0,11; 6,82]	0,83 [0,07; 9,86]	-0,02 [-0,36; 0,31]	1,0000
Agalsidase beta	6	1 (16,7)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	24	6 (25,0)	1,06 [0,35; 3,20]	1,08 [0,25; 4,63]	0,01 [-0,25; 0,28]	1,0000
Agalsidase beta	17	4 (23,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.26.2 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in 'Beeinträchtigung der Lebensfreude durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,9402						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	28	6 (21,4)	0,96 [0,32; 2,95]	0,95 [0,23; 4,00]	-0,01 [-0,25; 0,24]	1,0000
Agalsidase beta	18	4 (22,2)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	17	3 (17,6)	0,88 [0,12; 6,73]	0,86 [0,07; 10,67]	-0,02 [-0,42; 0,37]	1,0000
Agalsidase beta	5	1 (20,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.27 Responderanalyse für Verschlechterung in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz' (Woche 52)

3.3.2.2.27.1 Geschlecht

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,8633						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	21	4 (19,1)	1,14 [0,16; 8,40]	1,18 [0,11; 13,07]	0,02 [-0,32; 0,37]	1,0000
Agalsidase beta	6	1 (16,7)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	24	8 (33,3)	0,94 [0,40; 2,23]	0,92 [0,25; 3,39]	-0,02 [-0,31; 0,28]	1,0000
Agalsidase beta	17	6 (35,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.27.2 Region

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,2284						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	15	5 (33,3)	2,33 [0,33; 16,41]	3,00 [0,28; 32,21]	0,19 [-0,16; 0,54]	0,6158
Agalsidase beta	7	1 (14,3)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	30	7 (23,3)	0,62 [0,25; 1,54]	0,51 [0,14; 1,90]	-0,14 [-0,42; 0,14]	0,3276
Agalsidase beta	16	6 (37,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.27.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,2239						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ 60						
Pegunigalsidase alfa	9	1 (11,1)	0,67 [0,05; 8,73]	0,62 [0,03; 12,41]	-0,06 [-0,42; 0,31]	1,0000
Agalsidase beta	6	1 (16,7)				
> 90						
Pegunigalsidase alfa	26	4 (15,4)	0,46 [0,13; 1,68]	0,36 [0,06; 2,09]	-0,18 [-0,52; 0,16]	0,3397
Agalsidase beta	9	3 (33,3)				
60 < und ≤ 90						
Pegunigalsidase alfa	10	7 (70,0)	1,87 [0,70; 4,99]	3,89 [0,54; 27,87]	0,32 [-0,11; 0,76]	0,3416
Agalsidase beta	8	3 (37,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.27.4 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,5116						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	28	8 (28,6)	1,03 [0,40; 2,65]	1,04 [0,28; 3,88]	0,01 [-0,26; 0,27]	1,0000
Agalsidase beta	18	5 (27,8)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	17	4 (23,5)	0,59 [0,15; 2,32]	0,46 [0,06; 3,81]	-0,16 [-0,64; 0,31]	0,5853
Agalsidase beta	5	2 (40,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.27.5 Klassifizierung des Morbus Fabry

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,9152						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	22	7 (31,8)	0,89 [0,35; 2,26]	0,84 [0,20; 3,46]	-0,04 [-0,36; 0,28]	1,0000
Agalsidase beta	14	5 (35,7)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	23	5 (21,7)	0,98 [0,23; 4,16]	0,97 [0,15; 6,23]	0,00 [-0,32; 0,31]	1,0000
Agalsidase beta	9	2 (22,2)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.27.6 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,4096						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	22	3 (13,6)	0,55 [0,11; 2,69]	0,47 [0,06; 3,54]	-0,11 [-0,45; 0,22]	0,5894
Agalsidase beta	8	2 (25,0)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	23	9 (39,1)	1,17 [0,49; 2,83]	1,29 [0,33; 5,02]	0,06 [-0,25; 0,37]	1,0000
Agalsidase beta	15	5 (33,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.2.2.27.7 ADA-Status zu Baseline

Responderanalyse für Verschlechterung des BPI-SF-Scores in Interferenz-Summenskala 'allgemeine Beeinträchtigung durch Schmerz' (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,6849						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	29	6 (20,7)	1,03 [0,30; 3,57]	1,04 [0,22; 4,92]	0,01 [-0,24; 0,26]	1,0000
Agalsidase beta	15	3 (20,0)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	16	6 (37,5)	0,75 [0,29; 1,92]	0,60 [0,11; 3,34]	-0,12 [-0,54; 0,29]	0,6734
Agalsidase beta	8	4 (50,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz						

3.3.3 Morbidität: Veränderung des Gesundheitszustandes gemessen anhand der EQ-5D-5L VAS

3.3.3.1 Veränderung der EQ-5D-5L-VAS-Scores gegenüber Baseline

3.3.3.1.1 Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS

3.3.3.1.1.1 ADA-Status zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,3209							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Negativ	Pegunigalsidase alfa	34	74,76 (21,64)	-	-	-
		Agalsidase beta	17	75,76 (14,36)			
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	18	74,22 (24,41)			
		Agalsidase beta	8	76,25 (15,98)			

Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,3209							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Woche 52	Negativ	Pegunigalsidase alfa	29	74,72 (15,79)	-0,93 (2,21) [-5,29; 3,44]	-7,96 (3,79) [-15,43; -0,48]	0,0371
		Agalsidase beta	15	82,87 (13,14)	7,03 (3,07) [0,97; 13,10]		
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	16	74,81 (21,11)	-0,71 (3,89) [-8,46; 7,03]	-0,27 (6,75) [-13,73; 13,19]	0,9680
		Agalsidase beta	8	75,25 (21,06)	-0,44 (5,52) [-11,45; 10,57]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.3.1.1.2 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,0393							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	33	75,94 (20,23)	-	-	-
		Agalsidase beta	19	75,68 (15,09)			
	> -5	Pegunigalsidase alfa	19	72,21 (26,16)			
		Agalsidase beta	6	76,67 (14,02)			
Woche 52	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	28	75,00 (17,59)	-3,17 (2,57) [-8,24; 1,90]	-9,18 (4,12) [-17,32; -1,04]	0,0273

Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,0393							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	18	81,56 (16,22)	6,01 (3,22) [-0,36; 12,37]		
	> -5	Pegunigalsidase alfa	17	74,35 (18,22)	3,55 (3,21) [-2,86; 9,97]	6,65 (6,48) [-6,29; 19,60]	0,3086
		Agalsidase beta	5	75,40 (17,34)	-3,10 (5,62) [-14,33; 8,14]		
<p><i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i></p>							
<p>ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures</p>							

3.3.3.1.1.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,0385							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	28	78,86 (19,16)	-	-	-
		Agalsidase beta	11	74,36 (15,34)			
	≤ 60	Pegunigalsidase alfa	13	77,85 (12,02)			
		Agalsidase beta	8	71,25 (15,29)			
	> 90	Pegunigalsidase alfa	11	59,82 (33,01)			
		Agalsidase beta	6	85,00 (8,94)			
Woche 52	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	26	78,88 (15,09)	-0,14 (2,22) [-4,54; 4,27]	-6,69 (4,39) [-15,39; 2,01]	0,1303

Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,0385							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	9	82,22 (11,76)	6,55 (3,78) [-0,93; 14,04]		
		Pegunigalsidase alfa	10	65,30 (14,60)	-9,57 (4,79) [-19,17; 0,03]		
	≤ 60	Agalsidase beta	8	77,50 (21,21)	4,82 (5,48) [-6,17; 15,81]	-14,39 (7,31) [-29,05; 0,27]	0,0543
		Pegunigalsidase alfa	9	73,33 (24,24)	9,89 (4,25) [1,31; 18,47]		
> 90	Pegunigalsidase alfa	9	73,33 (24,24)	9,89 (4,25) [1,31; 18,47]	10,74 (7,23) [-3,86; 25,34]	0,1453	
	Agalsidase beta	6	80,83 (17,14)	-0,84 (5,72) [-12,39; 10,71]			
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.3.1.1.4 Klassifizierung des Morbus Fabry

Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,2744							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	27	77,37 (20,97)	-	-	-
		Agalsidase beta	14	75,57 (15,52)			
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	25	71,56 (23,91)			
		Agalsidase beta	11	76,36 (13,98)			

Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,2744							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Woche 52	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	22	74,73 (19,12)	-3,70 (2,79) [-9,21; 1,82]	-3,41 (4,58) [-12,47; 5,65]	0,4577
		Agalsidase beta	14	75,50 (17,60)	-0,29 (3,63) [-7,47; 6,90]		
	Nicht- klassisch	Pegunigalsidase alfa	23	74,78 (16,50)	1,25 (2,66) [-4,03; 6,53]	-10,81 (4,99) [-20,70; -0,92]	
		Agalsidase beta	9	87,56 (11,18)	12,06 (4,22) [3,71; 20,42]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.3.1.1.5 Region

Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,2079							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Europa	Pegunigalsidase alfa	19	63,95 (26,91)	-	-	-
		Agalsidase beta	7	75,00 (18,71)			
	USA	Pegunigalsidase alfa	33	80,70 (16,93)			
		Agalsidase beta	18	76,28 (13,24)			
Woche 52	Europa	Pegunigalsidase alfa	15	64,53 (19,12)	0,42 (3,05) [-5,67; 6,51]	-11,23 (5,56) [-22,32; -0,14]	0,0472

Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,2079							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	7	83,57 (19,30)	11,65 (4,62) [2,43; 20,87]		
	USA	Pegunigalsidase alfa	30	79,87 (14,62)	-1,45 (2,55) [-6,49; 3,58]	-2,37 (4,31) [-10,89; 6,14]	0,5833
		Agalsidase beta	16	78,75 (15,22)	0,92 (3,47) [-5,93; 7,77]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.3.1.1.6 Geschlecht

Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,2861							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Männlich	Pegunigalsidase alfa	29	75,55 (21,74)	-	-	-
		Agalsidase beta	18	76,00 (14,28)			
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	23	73,35 (23,63)			
		Agalsidase beta	7	75,71 (16,44)			
Woche 52	Männlich	Pegunigalsidase alfa	24	74,67 (18,31)	-1,97 (2,75) [-7,40; 3,45]	-3,37 (4,31) [-11,88; 5,14]	0,4350
Agalsidase beta		17	78,06 (17,22)	1,40 (3,32) [-5,16; 7,95]			

Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,2861							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	21	74,86 (17,26)	0,02 (2,95) [-5,84; 5,88]	-11,45 (6,23) [-23,82; 0,93]	0,0694
		Agalsidase beta	6	86,33 (12,44)	11,47 (5,48) [0,57; 22,37]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.3.1.1.7 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,6042							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Ja	Pegunigalsidase alfa	26	75,38 (20,49)	-	-	-
		Agalsidase beta	16	74,88 (14,57)			
	Nein	Pegunigalsidase alfa	26	73,77 (24,54)			
		Agalsidase beta	9	77,78 (15,23)			
Woche 52	Ja	Pegunigalsidase alfa	23	73,65 (16,93)	-1,04 (2,97) [-6,92; 4,83]	-4,05 (4,73) [-13,39; 5,30]	0,3934
		Agalsidase beta	15	78,67 (16,85)	3,00 (3,68) [-4,27; 10,27]		
	Nein	Pegunigalsidase alfa	22	75,91 (18,64)	-1,49 (2,75) [-6,96; 3,97]	-7,74 (5,34) [-18,34; 2,85]	0,1503

Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,6042							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	8	83,12 (15,79)	6,25 (4,58) [-2,83; 15,32]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.3.1.1.8 UPCR-Kategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS							
Subgruppe (ITT): UPCR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,7893							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	0,5 < und < 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	9	80,22 (14,76)	-	-	-
		Agalsidase beta	2	89,00 (15,56)			
	≤ 0,5 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	36	73,64 (25,04)			
		Agalsidase beta	20	77,00 (12,71)			
	≥ 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	7	72,14 (16,04)			
		Agalsidase beta	3	60,00 (18,03)			
Woche 52	0,5 < und < 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	7	74,00 (9,15)	-6,01 (2,83) [-11,99; -0,04]	-9,67 (6,24) [-22,82; 3,49]	0,1395
		Agalsidase beta	2	90,00 (14,14)	3,65 (5,50) [-7,95; 15,25]		
	≤ 0,5 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	32	75,34 (19,29)	-0,88 (2,48) [-5,78; 4,02]	-4,54 (4,13) [-12,70; 3,61]	0,2728

Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS							
Subgruppe (ITT): UPCR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,7893							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	18	80,28 (16,13)	3,66 (3,30) [-2,85; 10,17]		
	≥ 1 gr/gr	Pegunigalsidase alfa	6	72,50 (17,82)	3,70 (7,16) [-11,29; 18,68]	-5,24 (12,47) [-31,33; 20,86]	0,6792
		Agalsidase beta	3	73,33 (20,82)	8,93 (10,16) [-12,34; 30,20]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.3.2 Responderanalysen für den EQ-5D-5L-VAS-Score

3.3.3.2.1 Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS (MID = 7 Punkte) (Woche 52)

3.3.3.2.1.1 Geschlecht

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS (MID = 7 Punkte) (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,9652						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	21	6 (28,6)	0,57 [0,20; 1,63]	0,40 [0,06; 2,57]	-0,21 [-0,66; 0,23]	0,3673
Agalsidase beta	6	3 (50,0)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	24	5 (20,8)	0,59 [0,21; 1,62]	0,48 [0,12; 1,96]	-0,14 [-0,42; 0,13]	0,4757
Agalsidase beta	17	6 (35,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS (MID = 7 Punkte) (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,9652						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.3.2.1.2 Region

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS (MID = 7 Punkte) (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,8968						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	15	5 (33,3)	0,58 [0,22; 1,53]	0,38 [0,06; 2,37]	-0,24 [-0,68; 0,20]	0,3762
Agalsidase beta	7	4 (57,1)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	30	6 (20,0)	0,64 [0,23; 1,77]	0,55 [0,14; 2,20]	-0,11 [-0,38; 0,16]	0,4766
Agalsidase beta	16	5 (31,2)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.3.2.1.3 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS (MID = 7 Punkte) (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,7224						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	28	6 (21,4)	0,55 [0,22; 1,38]	0,43 [0,12; 1,59]	-0,17 [-0,45; 0,10]	0,3146
Agalsidase beta	18	7 (38,9)				
> -5						
Pegunigalsidase alfa	17	5 (29,4)	0,74 [0,20; 2,70]	0,62 [0,08; 4,96]	-0,11 [-0,59; 0,38]	1,0000
Agalsidase beta	5	2 (40,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS (MID = 7 Punkte) (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,7224						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.3.2.1.4 Klassifizierung des Morbus Fabry

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS (MID = 7 Punkte) (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,8106						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	22	3 (13,6)	0,64 [0,15; 2,72]	0,58 [0,10; 3,38]	-0,08 [-0,34; 0,18]	0,6582
Agalsidase beta	14	3 (21,4)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	23	8 (34,8)	0,52 [0,25; 1,08]	0,27 [0,05; 1,36]	-0,32 [-0,68; 0,05]	0,1317
Agalsidase beta	9	6 (66,7)				
Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.3.2.1.5 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS (MID = 7 Punkte) (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,5647						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	22	4 (18,2)	0,48 [0,14; 1,71]	0,37 [0,06; 2,23]	-0,19 [-0,57; 0,18]	0,3446
Agalsidase beta	8	3 (37,5)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	23	7 (30,4)	0,76 [0,32; 1,83]	0,66 [0,17; 2,56]	-0,10 [-0,41; 0,22]	0,7281
Agalsidase beta	15	6 (40,0)				
Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation						

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS (MID = 7 Punkte) (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,5647						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.3.2.1.6 ADA-Status zu Baseline

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS (MID = 7 Punkte) (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,8980						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	29	7 (24,1)	0,60 [0,25; 1,48]	0,48 [0,13; 1,82]	-0,16 [-0,45; 0,13]	0,3129
Agalsidase beta	15	6 (40,0)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	16	4 (25,0)	0,67 [0,19; 2,29]	0,56 [0,09; 3,44]	-0,12 [-0,52; 0,27]	0,6466
Agalsidase beta	8	3 (37,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.3.2.2 Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS (MID = 10 Punkte) (Woche 52)

3.3.3.2.2.1 Geschlecht

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS (MID = 10 Punkte) (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,6599						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	21	6 (28,6)	0,86 [0,23; 3,20]	0,80 [0,11; 5,59]	-0,05 [-0,47; 0,38]	1,0000
Agalsidase beta	6	2 (33,3)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	24	5 (20,8)				0,4757

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS (MID = 10 Punkte) (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,6599						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Agalsidase beta	17	6 (35,3)	0,59 [0,21; 1,62]	0,48 [0,12; 1,96]	-0,14 [-0,42; 0,13]	
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.3.2.2 Region

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS (MID = 10 Punkte) (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Region, Interaktions-p-Wert: 0,6733						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	15	5 (33,3)	0,58 [0,22; 1,53]	0,38 [0,06; 2,37]	-0,24 [-0,68; 0,20]	0,3762
Agalsidase beta	7	4 (57,1)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	30	6 (20,0)	0,80 [0,26; 2,43]	0,75 [0,18; 3,17]	-0,05 [-0,31; 0,21]	0,7203
Agalsidase beta	16	4 (25,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.3.2.3 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS (MID = 10 Punkte) (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,8709						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤ -5						
Pegunigalsidase alfa	28	6 (21,4)	0,64 [0,25; 1,69]	0,55 [0,14; 2,07]	-0,12 [-0,38; 0,15]	0,4949
Agalsidase beta	18	6 (33,3)				

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS (MID = 10 Punkte) (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,8709						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
> -5						
Pegunigalsidase alfa	17	5 (29,4)	0,74 [0,20; 2,70]	0,62 [0,08; 4,96]	-0,11 [-0,59; 0,38]	1,0000
Agalsidase beta	5	2 (40,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.3.2.2.4 Klassifizierung des Morbus Fabry

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS (MID = 10 Punkte) (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,9847						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	22	3 (13,6)	0,64 [0,15; 2,72]	0,58 [0,10; 3,38]	-0,08 [-0,34; 0,18]	0,6582
Agalsidase beta	14	3 (21,4)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	23	8 (34,8)	0,63 [0,28; 1,41]	0,43 [0,09; 2,05]	-0,21 [-0,59; 0,17]	0,4269
Agalsidase beta	9	5 (55,6)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.3.2.2.5 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS (MID = 10 Punkte) (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,9592						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS (MID = 10 Punkte) (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,9592						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Pegunigalsidase alfa	22	4 (18,2)	0,73 [0,16; 3,23]	0,67 [0,10; 4,60]	-0,07 [-0,41; 0,27]	0,6452
Agalsidase beta	8	2 (25,0)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	23	7 (30,4)	0,76 [0,32; 1,83]	0,66 [0,17; 2,56]	-0,10 [-0,41; 0,22]	0,7281
Agalsidase beta	15	6 (40,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.3.2.6 ADA-Status zu Baseline

Responderanalyse für Veränderung gegenüber Baseline in EQ-5D-5L VAS (MID = 10 Punkte) (Woche 52)						
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,9175						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	29	7 (24,1)	0,72 [0,28; 1,90]	0,64 [0,16; 2,50]	-0,09 [-0,38; 0,19]	0,7222
Agalsidase beta	15	5 (33,3)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	16	4 (25,0)	0,67 [0,19; 2,29]	0,56 [0,09; 3,44]	-0,12 [-0,52; 0,27]	0,6466
Agalsidase beta	8	3 (37,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Respondern; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.4 Morbidität: Veränderung der kardialen Hypertrophie gemessen anhand des LVMI

3.3.4.1.1 Veränderung gegenüber Baseline im LVMI

3.3.4.1.1.1 ADA-Status zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im LVMI							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,8936							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Negativ	Pegunigalsidase alfa	27	67,67 (33,99)	-	-	-
		Agalsidase beta	16	77,32 (29,70)			
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	16	82,43 (25,08)			
		Agalsidase beta	7	95,39 (25,59)			
Woche 52	Negativ	Pegunigalsidase alfa	22	73,72 (37,78)	0,25 (1,88) [-3,51; 4,00]	-3,74 (2,94) [-9,61; 2,13]	0,2079
		Agalsidase beta	15	81,92 (31,34)	3,99 (2,26) [-0,52; 8,50]		
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	10	86,87 (24,02)	-0,38 (2,86) [-6,29; 5,54]	-4,49 (4,82) [-14,47; 5,48]	0,3608
		Agalsidase beta	6	99,34 (36,67)	4,12 (3,85) [-3,85; 12,09]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.4.1.1.2 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im LVMI							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,8321							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	27	73,18 (29,89)	-	-	-
		Agalsidase beta	17	76,96 (29,15)			
	> -5	Pegunigalsidase alfa	16	73,12 (35,06)			
		Agalsidase beta	6	99,41 (24,14)			
Woche 52	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	19	79,69 (31,90)	-0,75 (2,04) [-4,83; 3,32]	-3,40 (3,08) [-9,55; 2,76]	0,2744
		Agalsidase beta	15	79,08 (31,42)	2,64 (2,30) [-1,96; 7,25]		
	> -5	Pegunigalsidase alfa	13	75,10 (38,59)	1,69 (2,26) [-2,95; 6,34]	-4,51 (4,24) [-13,22; 4,20]	0,2974
		Agalsidase beta	6	106,43 (30,84)	6,20 (3,46) [-0,92; 13,31]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.4.1.1.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im LVMI							
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,9978							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	22	64,79 (25,47)	-	-	-
		Agalsidase beta	11	86,27 (24,84)			

Veränderung gegenüber Baseline im LVMi								
Subgruppe (ITT): eGFR-Kategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,9978								
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert	
	≤ 60	Pegunigalsidase alfa	10	99,60 (37,36)				
		Agalsidase beta	6	99,46 (29,78)				
	> 90	Pegunigalsidase alfa	11	65,88 (25,23)				
		Agalsidase beta	6	59,84 (25,24)				
Woche 52	60 < und ≤ 90	Pegunigalsidase alfa	17	64,55 (25,89)	0,69 (1,93) [-3,21; 4,59]	-4,26 (3,42) [-11,16; 2,64]	0,2199	
		Agalsidase beta	9	92,20 (33,00)	4,95 (2,69) [-0,47; 10,37]			
	≤ 60	Pegunigalsidase alfa	8	108,18 (38,38)	0,37 (3,98) [-7,90; 8,64]	-3,93 (6,13) [-16,67; 8,81]	0,5282	
		Agalsidase beta	6	104,06 (32,12)	4,30 (4,63) [-5,33; 13,93]			
	> 90	Pegunigalsidase alfa	7	75,37 (28,61)	-2,02 (3,75) [-10,02; 5,98]	-3,89 (5,54) [-15,70; 7,93]	0,4940	
		Agalsidase beta	6	61,77 (20,49)	1,87 (3,91) [-6,47; 10,20]			
	<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
	ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.4.1.1.4 Klassifizierung des Morbus Fabry

Veränderung gegenüber Baseline im LVMI							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,4271							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	21	81,08 (25,73)	-	-	-
		Agalsidase beta	13	90,56 (24,71)			
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	22	65,60 (35,08)			
		Agalsidase beta	10	72,75 (32,70)			
Woche 52	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	15	89,24 (23,84)	-0,11 (2,57) [-5,30; 5,08]	-5,80 (3,89) [-13,66; 2,06]	0,1436
		Agalsidase beta	12	95,73 (31,41)	5,69 (2,92) [-0,21; 11,59]		
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	17	67,76 (39,31)	0,09 (1,78) [-3,50; 3,69]	-1,89 (3,02) [-7,98; 4,20]	0,5357
		Agalsidase beta	9	75,12 (33,05)	1,98 (2,44) [-2,93; 6,89]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.4.1.1.5 Region

Veränderung gegenüber Baseline im LVMI							
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,7643							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Europa	Pegunigalsidase alfa	15	76,21 (34,97)	-	-	-
		Agalsidase beta	7	95,05 (29,68)			

Veränderung gegenüber Baseline im LVMI								
Subgruppe (ITT): Region; Interaktions-p-Wert: 0,7643								
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert	
Woche 52	USA	Pegunigalsidase alfa	28	71,53 (30,02)			0,3260	
		Agalsidase beta	16	77,47 (28,23)				
	Europa	Pegunigalsidase alfa	10	91,65 (38,33)	3,18 (1,97) [-0,88; 7,24]	-3,23 (3,22) [-9,88; 3,42]		0,1557
		Agalsidase beta	6	101,05 (26,72)	6,41 (2,54) [1,16; 11,66]			
	USA	Pegunigalsidase alfa	22	71,54 (31,13)	-1,61 (2,03) [-5,67; 2,46]	-4,59 (3,19) [-10,98; 1,79]		
		Agalsidase beta	15	81,23 (34,36)	2,98 (2,46) [-1,93; 7,90]			
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>								
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures								

3.3.4.1.1.6 Geschlecht

Veränderung gegenüber Baseline im LVMI							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,2337							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Männlich	Pegunigalsidase alfa	23	80,81 (25,65)	-	-	-
		Agalsidase beta	16	93,57 (26,39)			
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	20	64,37 (35,76)			
		Agalsidase beta	7	58,23 (19,24)			

Veränderung gegenüber Baseline im LVMI							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,2337							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Woche 52	Männlich	Pegunigalsidase alfa	16	86,58 (25,36)	-0,72 (2,37) [-5,49; 4,05]	-6,10 (3,47) [-13,07; 0,86]	0,0845
		Agalsidase beta	15	98,61 (30,22)	5,39 (2,50) [0,35; 10,42]		
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	16	69,07 (40,21)	0,70 (1,85) [-3,04; 4,45]	-0,22 (3,52) [-7,35; 6,92]	
		Agalsidase beta	6	57,62 (18,94)	0,92 (2,98) [-5,11; 6,96]		
<p><i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i></p> <p>ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures</p>							

3.3.4.1.1.7 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im LVMI							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,4883							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Ja	Pegunigalsidase alfa	20	82,23 (31,81)	-	-	-
		Agalsidase beta	14	94,04 (27,85)			
	Nein	Pegunigalsidase alfa	23	65,27 (29,67)			
		Agalsidase beta	9	65,35 (22,80)			
Woche 52	Ja	Pegunigalsidase alfa	16	88,26 (34,61)	1,55 (2,53) [-3,53; 6,63]	-4,73 (3,78) [-12,34; 2,89]	0,2177

Veränderung gegenüber Baseline im LVMi							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,4883							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	13	100,13 (32,37)	6,28 (2,80) [0,64; 11,92]		
	Nein	Pegunigalsidase alfa	16	67,39 (31,52)	-1,12 (1,60) [-4,34; 2,11]	-1,48 (2,77) [-7,08; 4,12]	0,5961
		Agalsidase beta	8	65,40 (21,49)	0,36 (2,26) [-4,20; 4,93]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.4.1.2 Veränderung gegenüber Baseline im LVMi bei Patienten ohne Hypertrophie zu Baseline

3.3.4.1.2.1 ADA-Status zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im LVMi bei Patienten ohne Hypertrophie zu Baseline							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,3615							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Negativ	Pegunigalsidase alfa	17	53,70 (13,35)	-	-	-
		Agalsidase beta	10	60,72 (17,55)			
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	10	68,99 (14,25)			
		Agalsidase beta	3	76,24 (9,81)			
Woche 52	Negativ	Pegunigalsidase alfa	15	52,45 (11,97)	-0,22 (1,88) [-4,04; 3,59]	-4,67 (3,13) [-11,00; 1,66]	0,1437
		Agalsidase beta	9	64,38 (19,04)	4,45 (2,44) [-0,50; 9,39]		

Veränderung gegenüber Baseline im LVMi bei Patienten ohne Hypertrophie zu Baseline							
Subgruppe (ITT): ADA-Status zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,3615							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
	Positiv	Pegunigalsidase alfa	7	73,72 (9,96)	2,01 (2,51) [-3,41; 7,43]	0,43 (4,63) [-9,57; 10,43]	0,9278
		Agalsidase beta	3	76,40 (14,89)	1,58 (3,90) [-6,85; 10,01]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.4.1.2.2 eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im LVMi bei Patienten ohne Hypertrophie zu Baseline							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,4880							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	17	62,80 (14,84)	-	-	-
		Agalsidase beta	10	58,25 (14,58)			
	> -5	Pegunigalsidase alfa	10	53,53 (15,22)			
		Agalsidase beta	3	84,49 (3,14)			
Woche 52	≤ -5	Pegunigalsidase alfa	13	61,66 (14,69)	-0,15 (1,99) [-4,18; 3,87]	-2,42 (3,14) [-8,78; 3,93]	0,4451
		Agalsidase beta	9	59,65 (13,20)	2,27 (2,40) [-2,60; 7,13]		
	> -5	Pegunigalsidase alfa	9	55,68 (15,73)	0,57 (2,74) [-5,29; 6,44]	-7,85 (7,18) [-23,24; 7,54]	0,2923

Veränderung gegenüber Baseline im LVMi bei Patienten ohne Hypertrophie zu Baseline							
Subgruppe (ITT): eGFR-Verlaufskategorie zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,4880							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
		Agalsidase beta	3	90,58 (7,84)	8,42 (5,99) [-4,43; 21,28]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.4.1.2.3 Klassifizierung des Morbus Fabry

Veränderung gegenüber Baseline im LVMi bei Patienten ohne Hypertrophie zu Baseline							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,2662							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	14	68,16 (15,16)	-	-	-
		Agalsidase beta	6	69,73 (9,87)			
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	13	49,89 (8,71)			
		Agalsidase beta	7	59,65 (21,24)			
Woche 52	Klassisch	Pegunigalsidase alfa	9	72,36 (9,71)	2,58 (1,93) [-1,44; 6,60]	0,18 (3,05) [-6,17; 6,52]	0,9548
		Agalsidase beta	6	71,89 (6,76)	2,40 (2,36) [-2,52; 7,32]		
	Nicht-klassisch	Pegunigalsidase alfa	13	50,11 (10,71)	-0,51 (1,90) [-4,40; 3,37]	-4,91 (3,40) [-11,86; 2,04]	0,1597
		Agalsidase beta	6	62,88 (25,28)	4,39 (2,76) [-1,24; 10,02]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							

Veränderung gegenüber Baseline im LVMi bei Patienten ohne Hypertrophie zu Baseline							
Subgruppe (ITT): Klassifizierung des Morbus Fabry; Interaktions-p-Wert: 0,2662							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.4.1.2.4 Geschlecht

Veränderung gegenüber Baseline im LVMi bei Patienten ohne Hypertrophie zu Baseline							
Subgruppe (ITT): Geschlecht; Interaktions-p-Wert: 0,7059							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Männlich	Pegunigalsidase alfa	15	67,17 (15,10)	-	-	-
		Agalsidase beta	8	73,86 (11,33)			
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	12	49,61 (9,04)			
		Agalsidase beta	5	49,01 (13,44)			
Woche 52	Männlich	Pegunigalsidase alfa	10	69,80 (12,21)	0,71 (2,32) [-4,05; 5,48]	-3,73 (3,51) [-10,96; 3,49]	0,2977
		Agalsidase beta	8	77,61 (12,14)	4,45 (2,61) [-0,91; 9,81]		
	Weiblich	Pegunigalsidase alfa	12	50,39 (11,13)	0,11 (2,04) [-4,08; 4,30]	-1,72 (4,03) [-10,02; 6,59]	0,6741
		Agalsidase beta	4	46,93 (6,48)	1,82 (3,44) [-5,25; 8,90]		
Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.4.1.2.5 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Veränderung gegenüber Baseline im LVMi bei Patienten ohne Hypertrophie zu Baseline							
Subgruppe (ITT): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline; Interaktions-p-Wert: 0,6080							
Visite	Kategorie	Behandlung	N	MW (SD)	LSM (SE) [95%-KI]	LSMD (SE) [95%-KI]	p-Wert
Baseline	Ja	Pegunigalsidase alfa	11	64,75 (14,07)	-	-	-
		Agalsidase beta	6	72,41 (12,90)			
	Nein	Pegunigalsidase alfa	16	55,66 (15,55)			
		Agalsidase beta	7	57,36 (18,06)			
Woche 52	Ja	Pegunigalsidase alfa	9	65,55 (12,99)	1,78 (2,58) [-3,58; 7,15]	-4,83 (4,21) [-13,58; 3,92]	0,2642
		Agalsidase beta	6	78,34 (13,62)	6,61 (3,20) [-0,05; 13,27]		
	Nein	Pegunigalsidase alfa	13	54,83 (15,28)	-1,10 (1,80) [-4,77; 2,57]	-2,12 (3,19) [-8,64; 4,40]	0,5117
		Agalsidase beta	6	56,43 (16,13)	1,02 (2,64) [-4,37; 6,41]		
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung mittels MMRM mit Baseline-Werten als Kovariate sowie Behandlungsgruppe, Visite sowie der Interaktion aus Visite und Behandlungsgruppe als feste Faktoren; Der Mittelwert bezieht sich auf die gemessenen Werte, nicht auf die Veränderung gegenüber der Baseline</i>							
ITT: Intention-to-treat; N: Anzahl an Patient*innen; MW: Mittelwert; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; LSM: Least-Square-Mean; LSMD: Least-Square-Mean-Differenz; KI: Konfidenzintervall; MMRM: Mixed Model for Repeated Measures							

3.3.5 Sicherheit: Endpunkte zu unerwünschten Ereignissen

3.3.5.1 UESI: Anti-Drug-Antikörper (ADA)

3.3.5.1.1 Patienten mit IgG-ADA zu Woche 52

3.3.5.1.1.1 Geschlecht

Patienten mit IgG-ADA zu Woche 52						
Subgruppe (Safety): Geschlecht, Interaktions-p-Wert: 0,9455						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Weiblich						
Pegunigalsidase alfa	22	1 (4,5)	1,04 [0,05; 23,11]	1,05 [0,04; 28,57]	0,05 [-0,04; 0,13]	1,0000
Agalsidase beta	7	0 (0,0)				
Männlich						
Pegunigalsidase alfa	25	12 (48,0)	1,17 [0,58; 2,35]	1,32 [0,38; 4,58]	0,07 [-0,24; 0,37]	0,7575
Agalsidase beta	17	7 (41,2)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.5.1.1.2 Region

Patienten mit IgG-ADA zu Woche 52						
Subgruppe (Safety): Region, Interaktions-p-Wert: 0,9085						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Europa						
Pegunigalsidase alfa	16	2 (12,5)	0,88 [0,09; 8,14]	0,86 [0,06; 11,36]	-0,02 [-0,32; 0,29]	1,0000
Agalsidase beta	7	1 (14,3)				
USA						
Pegunigalsidase alfa	31	11 (35,5)	1,01 [0,45; 2,24]	1,01 [0,29; 3,47]	0,00 [-0,28; 0,28]	1,0000
Agalsidase beta	17	6 (35,3)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.5.1.1.3 eGFR-Kategorie zu Baseline

Patienten mit IgG-ADA zu Woche 52						
Subgruppe (Safety): eGFR-Kategorie zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,3464						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
≤60						
Pegunigalsidase alfa	10	2 (20,0)	1,20 [0,14; 10,58]	1,25 [0,09; 17,65]	0,03 [-0,35; 0,42]	1,0000
Agalsidase beta	6	1 (16,7)				
>90						
Pegunigalsidase alfa	27	9 (33,3)	1,67 [0,43; 6,43]	2,00 [0,35; 11,44]	0,13 [-0,17; 0,44]	0,6884
Agalsidase beta	10	2 (20,0)				
60 < und ≤ 90						
Pegunigalsidase alfa	10	2 (20,0)	0,40 [0,10; 1,66]	0,25 [0,03; 2,00]	-0,30 [-0,73; 0,13]	0,3213
Agalsidase beta	8	4 (50,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.5.1.1.4 Klassifizierung des Morbus Fabry

Patienten mit IgG-ADA zu Woche 52						
Subgruppe (Safety): Klassifizierung des Morbus Fabry, Interaktions-p-Wert: 0,1150						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Klassisch						
Pegunigalsidase alfa	23	12 (52,2)	1,46 [0,65; 3,27]	1,96 [0,50; 7,69]	0,16 [-0,16; 0,49]	0,4979
Agalsidase beta	14	5 (35,7)				
Nicht-klassisch						
Pegunigalsidase alfa	24	1 (4,2)	0,21 [0,02; 2,05]	0,17 [0,01; 2,19]	-0,16 [-0,42; 0,10]	0,2005
Agalsidase beta	10	2 (20,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.5.1.1.5 Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline

Patienten mit IgG-ADA zu Woche 52						
Subgruppe (Safety): Einnahme von ACEi/ARB zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,4882						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Nein						
Pegunigalsidase alfa	24	5 (20,8)	1,88 [0,25; 13,93]	2,11 [0,21; 21,01]	0,10 [-0,16; 0,36]	1,0000
Agalsidase beta	9	1 (11,1)				
Ja						
Pegunigalsidase alfa	23	8 (34,8)	0,87 [0,38; 2,00]	0,80 [0,21; 3,06]	-0,05 [-0,37; 0,26]	1,0000
Agalsidase beta	15	6 (40,0)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						

3.3.5.1.1.6 ADA-Status zu Baseline

Patienten mit IgG-ADA zu Woche 52						
Subgruppe (Safety): ADA-Status zu Baseline, Interaktions-p-Wert: 0,7013						
Behandlung	N	n (%)	RR [95%-KI]	OR [95%-KI]	RD [95%-KI]	p-Wert
Negativ						
Pegunigalsidase alfa	31	1 (3,2)	1,59 [0,07; 37,05]	1,62 [0,06; 42,12]	0,03 [-0,03; 0,09]	1,0000
Agalsidase beta	16	0 (0,0)				
Positiv						
Pegunigalsidase alfa	16	12 (75,0)	0,86 [0,58; 1,26]	0,43 [0,04; 4,64]	-0,12 [-0,44; 0,19]	0,6311
Agalsidase beta	8	7 (87,5)				
<i>Post-hoc-Analyse: Berechnung des p-Wertes mittels exaktem Test nach Fisher; Berechnung der Effektschätzer OR, RD und RR aus Vierfeldertafel, Berechnung der KI aller Effektschätzer gemäß Normal-Approximation</i>						
N: Anzahl an Patient*innen; n: Anzahl an Patient*innen mit mindestens einem Ereignis; RR: Relatives Risiko; OR: Odds Ratio; RD: Risiko-Differenz; KI: Konfidenzintervall						