1. Farmacinė kompozicija, apimanti:

(a) žmogaus rekombinantinės rūgštinės α-gliukozidazės (rhGAA) molekulių populiaciją, kur rhGAA molekulių raiška yra vykdoma kininio žiurkėno kiaušidžių (CHO) ląstelėse ir kur rhGAA molekulės apima bent 3 molius manozės-6-fosfato (M6P) liekanų ir ne mažiau kaip 4 mol sialo rūgšties liekanų, vienam moliui rhGAA;

(b) citrato buferį; ir

(c) bent vieną pagalbinę medžiagą, parinktą iš grupės, kurią sudaro manitolis, polisorbatas 80 ir jų deriniai,

kur kompozicijos pH yra nuo 5,0 iki 7,0.

2. Farmacinė kompozicija pagal 1 punktą, kur 40%–60% rhGAA molekulių N-glikanų yra kompleksinio tipo N-glikanai.

3. Farmacinė kompozicija pagal 1 arba 2 punktą, kur rhGAA koncentracija yra nuo 5 mg/ml iki 50 mg/ml, pasirinktinai, 15 mg/ml.

4. Farmacinė kompozicija pagal bet kurį iš 1-3 punktų, kur kompozicijos pH yra nuo 5,5 iki 7,0, pasirinktinai, 6,0.

5. Farmacinė kompozicija pagal bet kurį iš 1-4 punktų, kur citrato buferis apima kalio, natrio arba amonio druską.

6. Farmacinė kompozicija pagal bet kurį iš 1-5 punktų, kur manitolio koncentracija yra nuo 10 mg/ml iki 50 mg/ml ir/arba polisorbato 80 koncentracija yra nuo 0,2 mg/ml iki 0,5 mg/ml; ir kur, pageidautina, manitolio koncentracija yra 20 mg/ml, o polisorbato 80 koncentracija yra 0,5 mg/ml.

7. Farmacinė kompozicija pagal bet kurį iš 1-6 punktų, papildomai apimanti šarminantį agentą ir/arba

rūgštinantį agentą,

kur šarminančio agento ir rūgštinančio agento kiekis yra pakankamas palaikyti farmacinės kompozicijos pH nuo 5,0 iki 6,0.

8. Farmacinė kompozicija pagal bet kurį iš 1-7 punktų, kur rhGAA molekulės apima pirmą, antrą, trečią, ketvirtą, penktą, šeštą ir septintą potencialias N-glikozilinimo vietas aminorūgštyse, atitinkančiose sekos SEQ ID Nr. 2 N84, N177, N334, N414, N596, N826 ir N869, atitinkamai, ir kur:

(a) mažiausiai 50% rhGAA molekulių apima N-glikano vienetą, turintį bis-M6P pirmoje potencialioje N-glikozilinimo vietoje;

(b) mažiausiai 30% rhGAA molekulių apima N-glikano vienetą, turintį mono-M6P antroje potencialioje N-glikozilinimo vietoje; arba

(c) mažiausiai 30% rhGAA molekulių apima N-glikano vienetą, turintį bis-M6P ketvirtoje potencialioje N-glikozilinimo vietoje; arba

(d) mažiausiai 20% rhGAA molekulių apima N-glikano vienetą, turintį mono-M6P ketvirtoje potencialioje N-glikozilinimo vietoje.

9. Farmacinė kompozicija pagal bet kurį iš 1-8 punktų, kur farmacinė kompozicija iš esmės susideda iš:

(a) rhGAA molekulių populiacijos;

(b) natrio citrato;

(c) citrinų rūgšties monohidrato;

(d) manitolio;

(e) polisorbato 80;

(f) vandens;

(g) pasirinktinai, rūgštinančio agento; ir

(h) pasirinktinai, šarminančio agento,

kur kompozicijos pH yra nuo 5,0 iki 6,0 ir kur, pasirinktinai: rhGAA molekulių populiacijos koncentracija yra 15 mg/ml, natrio citrato buferio koncentracija yra 25 mM, manitolio koncentracija yra 20 mg/ml, o polisorbato 80 koncentracija yra 0,5 mg/ml.

10. Farmacinė kompozicija, apimanti farmacinę kompoziciją pagal bet kurį iš 1-9 punktų, kur farmacinė kompozicija yra liofilizuota.

11. Farmacinė kompozicija pagal bet kurį iš 1-9 punktų, skirta naudoti Pompe ligos gydymui paciente, kuriam yra reikalingas toks gydymas, kur farmacinė kompozicija yra, pasirinktinai, atskiedžiama prieš įvedant ją pacientui.

12. Farmacinė kompozicija pagal 10 punktą, skirta naudoti Pompe ligos gydymui paciente, kuriam yra reikalingas toks gydymas, kur farmacinė kompozicija yra ištirpinama prieš įvedant ją pacientui.

13. Farmacinės kompozicijos pagal bet kurį iš 1-9 punktų gamybos būdas, kuris apima:

(a) tirpalo, apimančio citratinį buferį, bent vieną pagalbinę medžiagą ir rhGAA molekulių populiaciją, paruošimą;

(b) pasirinktinai, tirpalo pH sureguliavimą ;

(c) pasirinktinai, papildomo vandens į tirpalą pridėjimą;

(d) pasirinktinai, tirpalo filtravimą; ir

(e) pasirinktinai, tirpalo saugojimą.

14. Farmacinės kompozicijos pagal 10 punktą gamybos būdas, apimantis farmacinės kompozicijos pagal bet kurį iš 1-9 punktų liofilizavimą.