1. Kompozicija, apimanti rekombinantinės žmogaus rūgštinės α-gliukozidazės (rhGAA) molekulių populiaciją, skirta naudoti Pompe ligos gydymui subjekte, kuriam reikalingas toks gydymas, kur rhGAA molekulės yra pagaminamos kininio žiurkėnų kiaušidžių (CHO) ląstelių;

kur rhGAA molekulės apima septynias potencialias N-glikozilinimo vietas;

kur rhGAA molekulės vidutiniškai apima 3-4 manozės-6-fosfato (M6P) liekanas;

kur rhGAA molekulės vidutiniškai apima bent apie 0,5 molio bis-manozės-6-fosfato (bis-M6P) vienam moliui rhGAA pirmojoje potencialioje N-glikozilinimo vietoje, kaip nustatyta naudojant skysčių chromatografiją-tandeminę masių spektrometriją (LC-MS/ MS);

kur rhGAA molekulių populiacija yra įvedama vienu metu arba nuosekliai su farmakologiniu šaperonu, ir kur farmakologinis šaperonas yra miglustatas arba farmaciniu požiūriu priimtina jo druska;

kur rhGAA molekulių populiacija yra įvedama į veną maždaug 20 mg/kg doze, o miglustatas arba jo farmaciniu požiūriu priimtina druska yra įvedami per burną maždaug 260 mg doze; ir kur

(i) subjektas yra perėjimo nuo FPT terapijos pacientas, ir, palyginti su pradine padėtimi, subjekto plaučių funkcija, išmatuota forsuotos gyvybinės plaučių talpos (FVC) testu, išlieka stabili arba pagerėja praėjus šešiems mėnesiams po gydymo; ir (arba)

(ii) subjektas yra ambulatorinis perėjimo nuo FPT terapijos pacientas ir, palyginti su pradiniu, subjekto kreatinkinazės lygis praėjus šešiems mėnesiams po gydymo sumažėja bent 15%; ir (arba)

(iii) subjektas yra neambulatorinis perėjimo nuo FPT terapijos pacientas ir, palyginti su pradiniu, subjekto kreatinkinazės lygis praėjus šešiems mėnesiams po gydymo sumažėja bent 20%; ir (arba)

(iv) subjektas yra perėjimo nuo FPT terapijos pacientas ir, palyginti su pradiniu, subjekto šlapimo heksozės tetrasacharido kiekis praėjus šešiems mėnesiams po gydymo sumažėja bent 35%.

2. Kompozicija, skirta naudoti pagal 1 punktą, kur miglustatas arba farmaciniu požiūriu priimtina jo druska yra skiriami prieš rhGAA įvedimą.

3. Kompozicija, skirta naudoti pagal 1 arba 2 punktą, kur rhGAA molekulės apima aminorūgščių seką, bent 95% identišką SEQ ID Nr. 1 arba SEQ ID Nr. 5.

4. Kompozicija, skirta naudoti pagal bet kurį iš 1-3 punktų, kur rhGAA molekulės vidutiniškai apima nuo maždaug 0,5 molio iki maždaug 7,0 molių mono-M6P arba bis- M6P vienam moliui rhGAA, kaip nustatyta naudojant LC-MS/MS.

5. Kompozicija, skirta naudoti pagal bet kurį iš 1-4 punktų, kur rhGAA molekulės vidutiniškai apima bent 2,5 molių M6P vienam moliui rhGAA ir bent 4 molius sialo rūgšties vienam moliui rhGAA, kaip nustatyta naudojant LC-MS/MS.

6. Kompozicija, skirta naudoti pagal bet kurį iš 1-5 punktų, kur vienam rhGAA moliui, rhGAA molekulės vidutiniškai apima:

(a) nuo maždaug 0,4 iki maždaug 0,6 molio mono-M6P antroje potencialioje N-glikozilinimo vietoje;

(b) nuo maždaug 0,4 iki maždaug 0,6 molio bis-M6P ketvirtoje potencialioje N-glikozilinimo vietoje; ir

(c) nuo maždaug 0,3 iki maždaug 0,4 molio mono-M6P ketvirtoje potencialioje N-glikozilinimo vietoje; kur (a)-(c) yra nustatyti naudojant LC-MS/MS.

7. Kompozicija, skirta naudoti pagal bet kurį iš 1-6 punktų, kur vienam rhGAA moliui, rhGAA molekulės papildomai apima nuo maždaug 4 molių iki maždaug 7,3 molių sialo rūgšties; ir

kur vienam moliui rhGAA, rhGAA molekulės vidutiniškai apima:

(a) nuo maždaug 0,9 iki maždaug 1,2 molių sialo rūgšties trečioje potencialioje N-glikozilinimo vietoje;

(b) nuo maždaug 0,8 iki maždaug 0,9 molio sialo rūgšties penktoje potencialioje N-glikozilinimo vietoje; ir

(c) nuo maždaug 1,5 iki maždaug 4,2 molių sialo rūgšties šeštoje potencialioje N-glikozilinimo vietoje;

kur (a)-(c) yra nustatyti naudojant LC-MS/MS.

8. Kompozicija, skirta naudoti pagal bet kurį iš 1-7 punktų, kur rhGAA molekulių populiacija yra sudaryta kaip farmacinė kompozicija, ir kur farmacinė kompozicija papildomai apima bent vieną buferį, parinktą iš grupės, susidedančios iš citrato, fosfato ir jų derinio, ir mažiausiai vienos pagalbinės medžiagos, parinktos iš grupės, susidedančios iš manitolio, polisorbato 80 ir jų derinio; kur farmacinės kompozicijos pH yra nuo maždaug 5,0 iki maždaug 7,0.

9. Kompozicija, skirta naudoti pagal bet kurį iš 1-8 punktų, kur farmacinėje kompozicijoje rhGAA molekulių populiacijos koncentracija yra apie 5-50 mg/ml, bent vienas buferis yra natrio citrato buferis, kurio koncentracija yra apie,10-100 mM, bent viena pagalbinė medžiaga yra manitolis, kurio koncentracija yra apie 10-50 mg/ml, ir polisorbatas 80, kurio koncentracija yra apie 0,1-1 mg/ml, ir farmacinė kompozicija papildomai apima vandenį ir pasirinktinai apima rūgštinantį ir (arba) šarminantį agentą; kur farmacinės kompozicijos pH yra maždaug 6,0.