1. Kompozicija, apimanti rekombinantinės žmogaus rūgštinės α-gliukozidazės (rhGAA) molekules, skirta naudoti Pompe ligos gydymui derinyje su miglustatu pacientui, kuriam to reikia;

kur pacientui buvo taikyta pakaitinė fermentų terapija (ERT);

kur kompozicija yra įvedama intraveniniu būdu doze nuo 5 mg/kg iki 20 mg/kg, ir miglustatas yra įvedamas peroraliai 260 mg arba 130 mg doze;

kur rhGAA molekulės gaminamos kininio žiurkėno kiaušidžių (CHO) ląstelėse, rhGAA molekulės apima septynias potencialias N-glikozilinimo vietas, 40 % - 60 % iš N-glikanų rhGAA molekulėje yra kompleksinio tipo N-glikanai, ir bent 50 % rhGAA molekulių turi bis-manozės-6-fosfato (bis-M6P) vienetą pirmojoje potencialioje N-glikozilinimo vietoje.

2. Kompozicija, skirta naudoti pagal 1 punktą, kur rhGAA molekulės yra ekspresuojamos, turėdamos

(i) seką, bent 95 % identišką SEQ ID Nr. 4; arba

(ii) seką SEQ ID Nr. 4, kur rhGAA molekulės patiria post-transliacinę modifikaciją, pašalinant pirmąsias 56 aminorūgštis.

3. Kompozicija, skirta naudoti pagal 1 arba 2 punktą, kur bent 55 % rhGAA molekulių turi bis-M6P vienetą pirmojoje potencialioje N-glikozilinimo vietoje.

4. Kompozicija, skirta naudoti pagal bet kurį iš 1-3 punktų, kur bent 70 % rhGAA molekulių yra fosforilintos pirmojoje potencialioje N-glikozilinimo vietoje.

5. Kompozicija, skirta naudoti pagal bet kurį iš 1-4 punktų, kur bent 40 % rhGAA molekulių turi monomanozės-6-fosfato (mono-M6P) vienetą antrojoje potencialioje N-glikozilinimo vietoje.

6. Kompozicija, skirta naudoti pagal bet kurį iš 1-5 punktų, kur bent 40 % rhGAA molekulių turi bis-M6P vienetą ketvirtojoje potencialioje N-glikozilinimo vietoje.

7. Kompozicija, skirta naudoti pagal bet kurį iš 1-6 punktų, kur bent 25 % rhGAA molekulių turi mono-M6P vienetą ketvirtojoje potencialioje N-glikozilinimo vietoje.

8. Kompozicija, skirta naudoti pagal bet kurį iš 1-7 punktų,

kur kompozicija yra įvedama 20 mg/kg doze intraveninės infuzijos būdu per apytikriai keturias valandas kas 2 savaites,

kur miglustatas yra įvedamas vieną valandą prieš kompozicijos intraveninę infuziją, ir

kur pacientas nevalgo bent dvi valandas prieš ir bent dvi valandas po miglustato peroralinio įvedimo.

9. Kompozicija, skirta naudoti pagal bet kurį iš 1-8 punktų, kur kompozicija yra įvedama į veną 5 mg/kg, 10 mg/kg arba 20 mg/kg doze.

10. Kompozicija, skirta naudoti pagal bet kurį iš 1-9 punktų, kur kompozicija yra įvedama 20 mg/kg doze intraveninės infuzijos būdu, o miglustatas įvedamas peroraliai 260 mg doze.

11. Kompozicija, skirta naudoti pagal bet kurį iš 1-10 punktų, kur pacientas yra gydomas ambulatoriškai.

12. Kompozicija, skirta naudoti pagal bet kurį iš 1-10 punktų, kur pacientui nėra taikomas ambulatorinis gydymas.

13. Kompozicija, skirta naudoti pagal bet kurį iš 1-12 punktų, kur pacientui anksčiau buvo taikyta ERT, skiriant algliukozidazę alfa.

14. Kompozicija, skirta naudoti pagal bet kurį iš 1-13 punktų, kur pacientas nėra gydomas ambulatoriškai ir jam anksčiau bent 2 metus buvo taikoma ERT, skiriant algliukozidazę alfa.

15. Kompozicija, skirta naudoti pagal bet kurį iš 1-13 punktų, kur pacientas yra gydomas ambulatoriškai ir per ankstesnius 2-6 metus jam buvo taikoma ERT, skiriant algliukozidazę alfa.

16. Kompozicija, skirta naudoti pagal bet kurį iš 1-15 punktų, kur rhGAA molekulių seka yra bent 95 %, bent 98 % arba bent 99 % identiška SEQ ID Nr. 5.