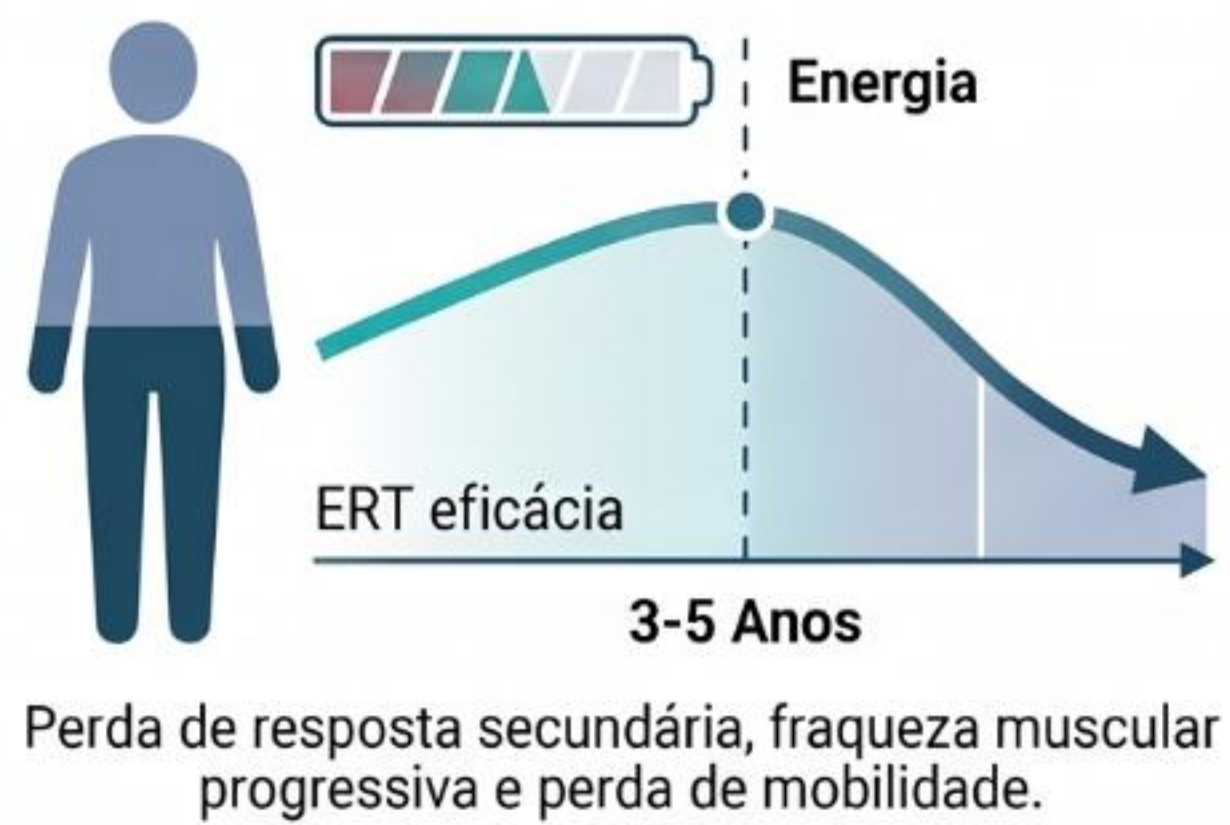


# Eficácia da Transição para Avalglucosidase Alfa na Doença de Pompe (LOPD): Evidência de Vida Real

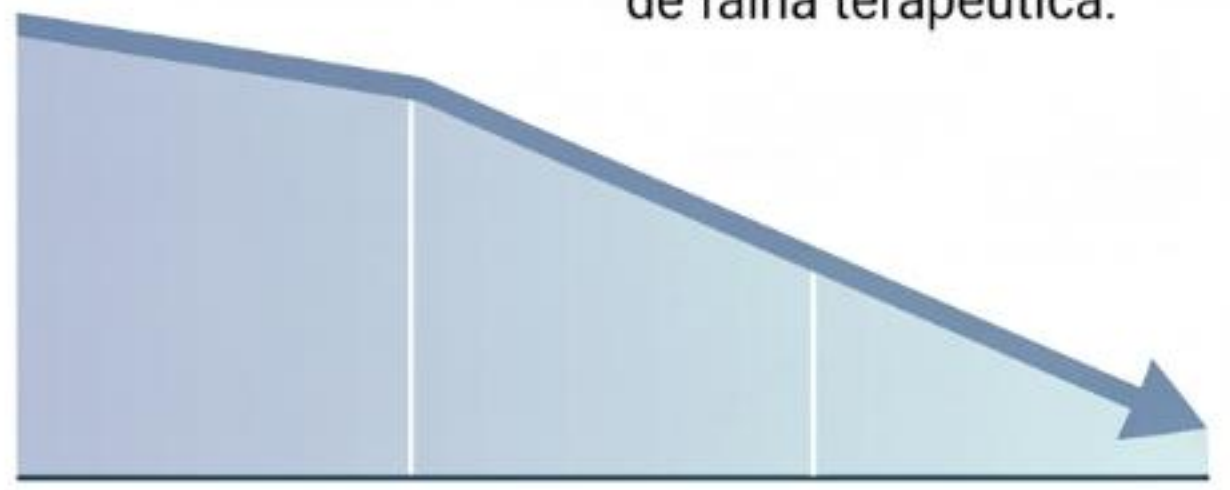
## O Problema: O Declínio Insidioso na LOPD

Resposta "Waning" após 3-5 anos



### Coorte com 10 anos de tratamento prévio

Estudo em doentes com média de 10 anos sob alglucosidase alfa antes de falha terapêutica.



Declínio Clínico Insidioso.

## A Solução: Efeitos da Transição para Avalglucosidase Alfa

Estratégia de resgate eficaz para interromper o declínio e promover estabilização.

| ANTES DO SWITCH                                                                             | APÓS O SWITCH                                                                                                                                                                                                                               |
|---------------------------------------------------------------------------------------------|---------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| <b>Função Motora: Reversão do Declínio da Marcha</b>                                        |                                                                                                                                                                                                                                             |
| <p><b>-27m</b><br/>por ano<br/>(Perda Média)</p> <p>Declínio progressivo no teste 6MWT.</p> | <p><b>+17m</b><br/>no primeiro ano<br/>(Melhoria Significativa, <math>p=0.001</math>)</p> <p><b>Estabilização Sustentada ao 2º Ano</b><br/>Função de marcha estável</p> <p>Função de marcha estável (-10m, <math>p=0.280</math>).</p>       |
| <b>Função Respiratória: Abrandamento da Perda Pulmonar</b>                                  |                                                                                                                                                                                                                                             |
| <p><b>-60 a -62 mL</b><br/>por ano<br/>(Declínio Acentuado da FVC)</p>                      | <p><b>-10 a -13 mL</b><br/>no primeiro ano<br/>(Redução do Declínio para Quase Zero)</p> <p><b>Preservação da capacidade ventilatória</b></p> <p>Abrandamento massivo do declínio pulmonar, crucial para evitar a ventilação assistida.</p> |

## Preditores de Resposta: A Janela de Oportunidade



### O Perfil do "Bom Respondedor"

- Menor duração de doença
- Idade mais jovem
- Níveis de CK mais baixos
- IMC mais elevado

Melhores recuperações motoras (>10% no 6MWT).



### O Risco do "Outdated Stage"

**Não esperar por danos musculares irreversíveis.**

Doentes que permaneceram em declínio por demasiado tempo (média 15 anos) mostraram menor capacidade de resposta devido à atrofia muscular severa.

Fonte: Registo Francês de Pompe (Tard et al., 2026)