

## Maladie de Pompe

**Pas d'actualité AFM**

**Actualité AIM**

<https://www.institut-myologie.org/2024/04/03/une-nouvelle-methode-pour-juger-de-lefficacite-du-traitement-dans-la-maladie-de-pompe/>

### **Une nouvelle méthode pour juger de l'efficacité du traitement dans la maladie de Pompe**

Pour évaluer l'efficacité de l'enzymothérapie substitutive, des chercheurs et des cliniciens néerlandais proposent une nouvelle méthodologie :

- les données cliniques et paracliniques de 102 patients atteints de maladie de Pompe et bénéficiant d'une enzymothérapie substitutive depuis un an ont été rétrospectivement analysées,
- un indice, MCID (pour *minimal clinically important difference*), décrit comme la différence minimale produisant un effet clinique ressenti, a été construit à partir de paramètres subjectifs d'amélioration clinique et de qualité de vie,
- utilisé dans cette cohorte, le MCID s'est avéré utile pour déterminer des seuils pour lesquels les améliorations objectives observées pour la fonction respiratoire et le test de marche se traduisent en meilleur ressenti pour les patients.

Les auteurs plaident pour l'utilisation de ce nouvel indice dans le suivi des patients mais aussi pour les essais cliniques.

#### **Source**

[Establishing how much improvement in lung function and distance walked is clinically important for adult patients with Pompe disease.](#)

Lika A, Andrinopoulou ER, van der Beek NAME et al.  
Eur J Neurol. 2024 Fév.