

Beschluss

des Gemeinsamen Bundesausschusses über eine Änderung
der Arzneimittel-Richtlinie:

Anlage XII – Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen
Wirkstoffen nach § 35a des Fünften Buches Sozialgesetzbuch
(SGB V)

Olipudase alfa (Neubewertung Orphan > 30 Mio: Mangel an
saurer Sphingomyelinase (ASMD) Typ A/B oder Typ B))

Vom 15. Oktober 2026

Der Gemeinsame Bundesausschuss (GBA) hat in seiner Sitzung am 15. Oktober 2026 beschlossen, die Arzneimittel-Richtlinie (AM-RL) in der Fassung vom 18. Dezember 2008 / 22. Januar 2009 (BAnz. Nr. 49a vom 31. März 2009), die zuletzt durch die Bekanntmachung des Beschlusses vom T. Monat JJJJ (BAnz AT TT.MM.JJJJ BX) geändert worden ist, wie folgt zu ändern:

- I. In Anlage XII werden die Angaben zu dem Wirkstoff Olipudase alfa in der Fassung des Beschlusses vom 16. März 2023 (BAnz AT 18.04.2023 B6) durch die folgenden Angaben ersetzt:**

Olipudase alfa

Beschluss vom: 15. Oktober 2026

In Kraft getreten am: 15. Oktober 2026

BAnz AT TT. MM JJJJ Bx

Anwendungsgebiet (laut Zulassung vom 24. Juni 2022):

Xenpozyme ist als Enzyersatztherapie zur Behandlung von Manifestationen eines Mangels an saurer Sphingomyelinase (ASMD) außerhalb des zentralen Nervensystems (ZNS) bei Kindern, Jugendlichen und Erwachsenen mit Typ A/B oder Typ B indiziert.

Anwendungsgebiet des Beschlusses (Beschluss vom 15. Oktober 2026):

Siehe Anwendungsgebiet laut Zulassung.

1. Zusatznutzen des Arzneimittels im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie

- a) Erwachsene mit Manifestationen eines Mangels an saurer Sphingomyelinase (ASMD) außerhalb des zentralen Nervensystems (ZNS) mit Typ A/B oder Typ B

Zweckmäßige Vergleichstherapie für Olipudase alfa:

Best Supportive Care

Ausmaß und Wahrscheinlichkeit des Zusatznutzens von Olipudase alfa gegenüber Best Supportive Care:

Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen.

- b) Kinder und Jugendliche mit Manifestationen eines Mangels an saurer Sphingomyelinase (ASMD) außerhalb des zentralen Nervensystems (ZNS) mit Typ A/B oder Typ B

Zweckmäßige Vergleichstherapie Olipudase alfa:

Best Supportive Care

Ausmaß und Wahrscheinlichkeit des Zusatznutzens von Olipudase alfa gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie:

Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen.

Studienergebnisse nach Endpunkten:¹

- a) Erwachsene mit Manifestationen eines Mangels an saurer Sphingomyelinase (ASMD) außerhalb des zentralen Nervensystems (ZNS) mit Typ A/B oder Typ B

Zusammenfassung der Ergebnisse relevanter klinischer Endpunkte

Endpunktkategorie	Effektrichtung/ Verzerrungspotential	Zusammenfassung
Mortalität	↔	Kein für die Nutzenbewertung relevanter Unterschied.
Morbidität	↑	Vorteil im Endpunkt „Veränderung des Milzvolumens“.
Gesundheitsbezogene Lebensqualität	↔	Keine für die Nutzenbewertung relevanten Unterschiede.
Nebenwirkungen	↔	Keine für die Nutzenbewertung relevanten Unterschiede.
Erläuterungen: ↑: positiver statistisch signifikanter und relevanter Effekt bei niedriger/unklarer Aussagesicherheit ↓: negativer statistisch signifikanter und relevanter Effekt bei niedriger/unklarer Aussagesicherheit ↑↑: positiver statistisch signifikanter und relevanter Effekt bei hoher Aussagesicherheit ↓↓: negativer statistisch signifikanter und relevanter Effekt bei hoher Aussagesicherheit ↔: kein statistisch signifikanter bzw. relevanter Unterschied ∅: Es liegen keine Daten vor. n. b.: nicht bewertbar		

Studie ASCEND: doppelblinde RCT, Olipudase alfa + BSC vs. Placebo + BSC, 52 Wochen, ≥ 18 Jahre

Mortalität

Endpunkt	Olipudase alfa + BSC		Placebo + BSC		Olipudase alfa + BSC vs. Placebo + BSC
	N	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)	N	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)	RR [95 %-KI] p-Wert ^a
Gesamtmortalität^b					
	18	0 (0)	18	0 (0)	-

¹ Daten aus der Dossierbewertung des IQWiG (A26-48), sofern nicht anders indiziert.

Morbidität

Endpunkt- kategorie; Endpunkt	Olipudase alfa + BSC		Placebo + BSC		Olipudase alfa vs. Placebo
	N	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)	N	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)	RR [95 %-KI] p-Wert ^a
Splénomégalie-assoziierte Symptomatik					
Splénomégalie- assoziierte Symptomatik	keine geeigneten Daten				
Fatigue (BFI Gesamtscore)	keine Daten vorgelegt				
stärkste Fatigue (BFI Item 3 – Verbesserung zu Woche 52 ^c)	18	6 (33,3)	17 ^d	5 (29,4)	1,26 [0,45; 3,56]; 0,651
Schmerz (BPI-SF Gesamtscore)	keine geeigneten Daten				
Dyspnoe (FACIT- Dyspnea-SF)	keine geeigneten Daten				
Gesundheitszustand (Verbesserung zu Woche 52 ^e)					
EQ-5D VAS	18	10 (55,6)	18	7 (38,9)	0,85 [0,17; 4,39]; 0,844

Endpunktkategorie; Endpunkt	Olipudase alfa			Placebo			Olipudase alfa vs. Placebo
	N ^f	Werte Studien- beginn MW (SD)	Mittlere prozentuale Änderung MW (SE) ^b	N ^f	Werte Studien- beginn MW (SD)	Mittlere prozentuale Änderung MW (SE) ^g	Mittelwert- differenz [95%-KI]; p-Wert ^g
Milzvolumen ^h							
Veränderung zu Woche 52	18	11,7 (4,9)	-39,5 (2,4)	17	11,2 (3,8)	0,5 (2,5)	-39,93 [-47,05; -32,80]; < 0,001
Veränderung zu Woche 236 ⁱ	15	11,7 (4,9)	-59,7 (1,8)	— ^j			
Veränderung zu Woche 260 ^k (ergänzend dargestellt)	13	11,7 (4,9)	-62,1 (3,0)	— ^l			
Diffusionskapazität der Lunge für Kohlenmonoxid (DL _{co}) ² (ergänzend dargestellt)							
Veränderung zu Woche 52	17	49,4 (11,0)	22,0 (3,3)	17	48,5 (10,8)	3,0 (3,4)	19,0 [9,3; 28,7]; < 0,001
Lebervolumen ² (ergänzend dargestellt)							
Veränderung zu Woche 52	17	1,4 (0,3)	-28,1 (2,5)	17	1,6 (0,5)	-1,5 (2,5)	-26,6 [-33,9; -19,3]; < 0,001

² Daten aus dem Dossier

Endpunkt- kategorie; Endpunkt	Olipudase alfa + BSC		Placebo + BSC		Olipudase alfa vs. Placebo
	N	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)	N	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)	RR [95 %-KI] p-Wer
Patient Global Impression of Severity (PGIS)² (Verbesserung ≥ 0,6 Punkte zu Woche 52)					
Abdominale Probleme	12	7 (58,3)	16	5 (31,3)	1,32 [0,54; 3,22] 0,522
Körperschmerz	12	6 (50,0)	16	6 (37,5)	0,92 [0,32; 2,62] 0,872
Fatigue	12	7 (58,3)	16	8 (50,0)	1,24 [0,43; 3,55] 0,674
Atemnot	12	7 (58,3)	16	4 (25,0)	1,29 [0,43; 3,90] 0,634
Patient Global Impression of Change (PGIC)² (Verbesserung ≥ 1, 2 oder 3 Punkte zu Woche 52)					
Abdominale Probleme	18	11 (61,1)	18	6 (33,3)	1,83 [0,84; 3,99] 0,123
Körperschmerz	18	9 (50,0)	18	6 (33,3)	1,50 [0,65; 3,44] 0,328
Fatigue	18	10 (55,6)	18	7 (38,9)	1,43 [0,68; 2,99] 0,333
Atemnot	18	11 (61,1)	18ç	5 (27,8)	2,20 [0,93; 5,21] 0,072
Fähigkeit, tägliche Aktivitäten auszuführen	18	12 (66,7)	18	6 (33,3)	2,00 [0,94; 4,27] 0,072

Gesundheitsbezogene Lebensqualität

Endpunkt	Olipudase alfa		Placebo		Olipudase alfa vs. Placebo
	N	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)	N	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)	RR [95 %-KI] p-Wert ^a
SF-36 (Verbesserung zu Woche 52^m)					
körperlicher Summenscore (PCS)	18	8 (44,4)	18	8 (44,4)	0,97 [0,50; 1,90]; 0,935
psychischer Summenscore (MCS)	18	3 (16,7)	18	3 (16,7)	0,91 [0,25; 3,34]; 0,886

Nebenwirkungen

Endpunkt	Olipudase alfa		Placebo		Olipudase alfa vs. Placebo
	N	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)	N	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)	RR [95 %-KI] p-Wert ^a
Unerwünschte Ereignisse gesamt (<i>ergänzend dargestellt</i>)	18	18 (100)	18	18 (100)	–
Schwerwiegende unerwünschte Ereignisse (SUE)	18	3 (16,7)	18	4 (22,2)	0,75 [0,19; 3,03]; 0,678
Schwere unerwünschte Ereignisse ^{n, 2}	18	1 (5,6)	18	6 (33,3)	0,17 [0,02; 1,34]; 0,090
Therapieabbrüche aufgrund von UE	18	0 (0)	18	0 (0)	–
Infusionsbedingte Reaktionen	keine geeigneten Daten				

- a. logistische Regression, außer für den Endpunkt SUEs adjustiert bezüglich des Werts zu Studienbeginn
- b. Die Ergebnisse zur Gesamtmortalität beruhen auf den Angaben zu tödlich verlaufenen UEs.
- c. Eine Abnahme um $\geq 1,7$ Punkte (BFI-SF Item 3) bzw. um ≥ 4 Punkte (BPI-SF Item 3) im Vergleich zum Studienbeginn wird als klinisch relevante Verbesserung angesehen (Wertebereich der Skalen: 0 bis 10).
- d. Diskrepanz zwischen Angaben in Modul 4 A und den Studienunterlagen. Die dargestellten Daten stammen aus Modul 4.
- e. Eine Zunahme um ≥ 15 Punkte im Vergleich zum Studienbeginn wird als klinisch relevante Verbesserung angesehen (Wertebereich der Skala: 0 bis 100).
- f. Anzahl der Patientinnen und Patienten, die bei der Effektschätzung berücksichtigt wurden, die Werte zu Studienbeginn können auf anderen Patientenzahlen basieren.
- g. Auswertung zu Woche 52: MMRM mit prozentualer Veränderung gegenüber Baseline (vermutlich Differenz gegenüber Baseline, dividiert durch den Baselinewert und ausgedrückt in Prozent) als abhängige Variable und adjustiert bezüglich Baselinewert, Alter zu Baseline, Behandlungsarm, Visite sowie Interaktion zwischen Visite und Behandlung unter Verwendung einer unstrukturierten Kovarianzmatrix; Auswertung zu Woche 236/260: Kovarianzanalyse mit prozentualer Veränderung gegenüber Baseline als abhängige Variable und adjustiert bezüglich Baselinewert.
- h. Das Milzvolumen wurde in der Studie mittels MRT des Abdomens erfasst, zunächst in Kubikmillimeter ausgegeben und dann gemäß folgender Formel in die Einheit MN umgerechnet: Milzvolumen [MN] = Milzvolumen (cm³) / (2 × Gewicht [kg]).
- i. Zeitpunkt zu dem noch mindestens 70 % der Patientinnen und Patienten in der Auswertung berücksichtigt werden.
- j. Ergebnisse für Patientinnen und Patienten des Vergleichsarms, die nach Ende der randomisierten Phase auf Olipudase alfa wechselten: Werte zu Studienbeginn (MW [SD]): 11,2 (3,8); mittlere prozentuale Veränderung von N = 13 Patientinnen und Patienten mit Werten zu Woche 236 (MW [SE]): -56,1 (1,9). MWD [95 %-KI] zwischen den Behandlungsarmen: 3,6 [-9,1; 1,8].
- k. Veränderung zum spätesten in der Studie erhobenen Zeitpunkt. Es ist unklar, ob die geringe Patientenzahl durch administrative oder andere Gründe bedingt ist.
- l. Ergebnisse für Patientinnen und Patienten des Vergleichsarms, die nach Ende der randomisierten Phase auf Olipudase alfa wechselten: Werte zu Studienbeginn (MW [SD]): 11,2 (3,8); mittlere prozentuale Veränderung von N = 11 Patientinnen und Patienten mit Werten zu Woche 260 (MW [SE]): -49,3 (3,3). MWD [95 %-KI] zwischen den Behandlungsarmen: -12,8 [-22,2; -3,5].
- m. Eine Zunahme des PCS und MCS um ≥ 10 Punkte wird als klinisch relevante Verbesserung angesehen (Wertebereich der Skala: 7,3 bis 70,1 für PCS und 5,8 bis 69,9 für MCS).
- n. Schwere UE: Es wurden studieneigene Kriterien zur Schweregradeinteilung verwendet. Die Operationalisierung ist für die sichere Abgrenzung schwerer UEs von nicht schweren UEs nicht geeignet.

BFI: Brief Fatigue Inventory; BPI-SF: Brief Pain Inventory-Short Form; BSC: Best Supportive Care; FACIT-Dyspnea-SF: Functional Assessment of Chronic Illness Therapy-Dyspnea-Short Form; KI: Konfidenzintervall; MCS: psychischer Summenscore; MMRM: gemischtes Modell mit Messwiederholungen; MN: Vielfaches des Normalwerts; MRT: Magnetresonanztomografie; MW: Mittelwert; MWD: Mittelwertdifferenz; n: Anzahl Patientinnen und Patienten mit (mindestens 1) Ereignis; N: Anzahl ausgewerteter Patientinnen und Patienten; PCS: körperlicher Summenscore; RCT: randomisierte kontrollierte Studie; RR: relatives Risiko; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; SF-36: Short Form 36 Health Survey; SUE: schwerwiegendes unerwünschtes Ereignis; UE: unerwünschtes Ereignis; VAS: visuelle Analogskala

- b) Kinder und Jugendliche mit Manifestationen eines Mangels an saurer Sphingomyelinase (ASMD) außerhalb des zentralen Nervensystems (ZNS) mit Typ A/B oder Typ B

Zusammenfassung der Ergebnisse relevanter klinischer Endpunkte

Endpunktkategorie	Effektrichtung/ Verzerrungspotential	Zusammenfassung
Mortalität	n. b.	Die Daten sind nicht bewertbar.
Morbidität	↑	Vorteil im Milzvolumen sowie in der Körpergröße (z-Score), jeweils zu Woche 52 im Vergleich zu Baseline.
Gesundheitsbezogene Lebensqualität	n. b.	Die Daten sind nicht bewertbar.
Nebenwirkungen	n. b.	Die Daten sind nicht bewertbar.
Erläuterungen: ↑: positiver statistisch signifikanter und relevanter Effekt bei niedriger/unklarer Aussagesicherheit ↓: negativer statistisch signifikanter und relevanter Effekt bei niedriger/unklarer Aussagesicherheit ↑↑: positiver statistisch signifikanter und relevanter Effekt bei hoher Aussagesicherheit ↓↓: negativer statistisch signifikanter und relevanter Effekt bei hoher Aussagesicherheit ↔: kein statistisch signifikanter bzw. relevanter Unterschied Ø: Es liegen keine Daten vor. n. b.: nicht bewertbar		

Studie ASCEND-Peds: offene, einarmige Phase I/II- Studie, 64 Wochen, < 18 Jahre

Mortalität

Endpunkt	Olipudase alfa	
	N	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)
Gesamt mortalität^a		
	20	0 (0)

Morbidität

Endpunkt	Olipudase alfa		
	N ^b	Werte Studienbeginn MW (SD)	Änderung zu Zeitpunkt MWD ^c (SE)
Milzvolumen^c			
prozentuale Veränderung zu Woche 52 (12 Monate)	20	19,0 (8,8)	-49,2 (2,0)
prozentuale Veränderung zu Woche 157 (36 Monate) ^{d, e}	17	19,0 (8,8)	-67,4 (1,5)
Körpergröße (z-score)			
Veränderung zu Woche 52	19	-2,1 (0,8) ^f	0,6 (0,1)

Veränderung zu Woche 183 (42 Monate) ^{d, e}	14	-2,1 (0,8) ^e	1,7 (0,1)
Prozentuale Veränderung der DL_{co}² (ergänzend dargestellt)			
Veränderung zu Woche 52	9	54,8 (14,2)	32,9 (8,3)
Prozentuale Veränderung des Lebervolumens² (ergänzend dargestellt)			
Veränderung zu Woche 52	20	2,7 (0,7)	-40,6 (1,67)
Fatigue (ergänzend dargestellt)			
<i>Gesamtscore PedsQL-MFS (Veränderung zu Woche 52)^{e, g, h}</i>			
patientenberichtet	13	73,5 (12,7)	13,3 (2,0)
elternberichtet	18	79,0 (12,1)	7,9 (2,2)
<i>allgemeine Fatigue (ergänzend dargestellt)</i>			
patientenberichtet	13	77,0 (15,6)	13,4 (2,4)
elternberichtet	18	72,9 (21,8)	15,7 (3,3)
<i>Schlaf/Ruhe Fatigue (ergänzend dargestellt)</i>			
patientenberichtet	13	67,8 (12,9)	16,2 (3,0)
elternberichtet	18	75,7 (17,6)	8,6 (3,3)
<i>kognitive Fatigue (ergänzend dargestellt)</i>			
patientenberichtet	13	75,6 (18,1)	10,6 (2,1)
elternberichtet	18	88,4 (12,6)	-0,7 (3,4)
Schmerz (PedsQL-PPQ - Veränderung zu Woche 52)^{e, i, j} (ergänzend dargestellt)			
<i>aktuelle Schmerzintensität</i>			
patientenberichtet	13	4,4 (6,9)	-1,8 (0,8)
elternberichtet	12 ^f	4,4 (9,9)	0,6 (1,6)
<i>stärkste Schmerzen</i>			
patientenberichtet	11 ^f	11,4 (16,1)	1,1 (7,0)
elternberichtet	12 ^f	8,1 (17,3)	6,4 (6,0)

Gesundheitsbezogene Lebensqualität

Endpunkt	Olipudase alfa		
	N ^b	Werte Studienbeginn MW (SD)	Änderung zu Zeitpunkt MWD ^c (SE)
PedsQL (Veränderung zu Woche 52)^{e, g, k} (ergänzend dargestellt)			
GCS			
patientenberichtet	13	73,0 (11,9)	7,6 (1,5)
elternberichtet	18	70,7 (15,7)	10,8 (2,4)
psychosozialer Gesundheitsscore (ergänzend dargestellt)			
patientenberichtet	13	70,8 (12,4)	6,8 (2,4)
elternberichtet	18	71,0 (13,6)	8,2 (2,9)
körperlicher Funktionsscore (ergänzend dargestellt)			
patientenberichtet	13	76,9 (14,6)	9,4 (1,8)
elternberichtet	18	70,0 (23,7)	15,5 (2,9)

Nebenwirkungen

Endpunkt	Olipudase alfa	
	N	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)
Nebenwirkungen		
UEs (ergänzend dargestellt)	20	20 (100)
SUEs	20	5 (25)
Schwere unerwünschte Ereignisse ^{m, 2}	20	3 (15,0)
Abbruch wegen UEs	20	0 (0)
Infusionsbedingte Reaktionen		keine geeigneten Daten
a. Die Ergebnisse zur Gesamtmortalität beruhen auf den Angaben zu tödlich verlaufenen UEs. b. Anzahl der Patientinnen und Patienten, die bei der Veränderung berücksichtigt wurden, die Werte zu Studienbeginn können auf anderen Patientenzahlen basieren. c. Das Milzvolumen wurde in der Studie mittels MRT des Abdomens erfasst, zunächst in Kubikmillimeter ausgegeben und dann gemäß folgender Formel in die Einheit MN umgerechnet: Milzvolumen [MN] = Milzvolumen (cm³) / (2 × Gewicht [kg]) d. Ergebnis der Studie LTS13632. Als Studienbeginn der Studie LTS13632 wird der Studienbeginn der vorangegangenen Studie ASCEND-Peds gewertet. e. Zeitpunkt zu dem noch mindestens 70 % der Patientinnen und Patienten in der Auswertung berücksichtigt werden.		

- f. Diskrepanz zwischen Angaben im Modul 4 A und den Studienunterlagen. Die dargestellten Daten stammen aus den Studienunterlagen.
- g. Der Fragebogen ist für Kinder ab 2 Jahren verfügbar. Es liegen altersspezifisch verschiedene Versionen zur Beurteilung durch die pädiatrischen Patientinnen und Patienten und / oder ihre Eltern vor. Für Kinder im Alter von 2 – 4 Jahren liegt nur eine Elternversion vor. Entsprechend können laut pU in die Auswertung patientenberichteter Daten maximal 15 Patientinnen und Patienten eingehen und in die Auswertung elternberichteter Daten maximal 19 Patientinnen und Patienten.
- h. Höhere (zunehmende) Werte bedeuten bessere Symptomatik (Wertebereich der Skala: 0 bis 100).
- i. Der Fragebogen ist für Kinder ab 2 Jahren verfügbar. Es liegen altersspezifisch verschiedene Versionen zur Beurteilung durch die pädiatrischen Patientinnen und Patienten und / oder ihre Eltern vor. Für Kinder im Alter von 2–4 Jahren liegt nur eine Elternversion vor. Dieser wurde jedoch in der Studie ASCEND-Peds nicht verwendet. Entsprechend können laut pU in die Auswertung patienten- und elternberichteter Daten jeweils maximal 15 Patientinnen und Patienten eingehen.
- j. Niedrigere (abnehmende) Werte bedeuten bessere Symptomatik (Wertebereich der Skala: 0 bis 100).
- k. Höhere (zunehmende) Werte bedeuten bessere gesundheitsbezogene Lebensqualität (Wertebereich der Skala: 0 bis 100).
- l. Höhere (zunehmende) Werte bedeuten bessere gesundheitsbezogene Lebensqualität (Wertebereich der Skala: 0 bis 100).
- m. Schwere UE: Es wurden studieneigene Kriterien zur Schweregradeinteilung verwendet. Die Operationalisierung ist für die sichere Abgrenzung schwerer UEs von nicht schweren UEs nicht geeignet.

GCS: Generic Core Scales; KI: Konfidenzintervall; MFS: Multidimensional Fatigue Scale; MW: Mittelwert; MWD: Mittelwertdifferenz; n: Anzahl Patientinnen und Patienten mit (mindestens 1) Ereignis; N: Anzahl ausgewerteter Patientinnen und Patienten; n. b.: nicht berechenbar; PedsQL: Pediatric Quality of Life Inventory; PPQ: Pediatric Pain Questionnaire; RCT: randomisierte kontrollierte Studie; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; SUE: schwerwiegendes unerwünschtes Ereignis; UE: unerwünschtes Ereignis

2. Anzahl der Patientinnen und Patienten bzw. Abgrenzung der für die Behandlung infrage kommenden Patientengruppen

Kinder, Jugendliche und Erwachsene mit Manifestationen eines Mangels an saurer Sphingomyelinase (ASMD) außerhalb des zentralen Nervensystems (ZNS) mit Typ A/B oder Typ B

circa 70 - 80 Patientinnen und Patienten

3. Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung

Die Vorgaben der Fachinformation sind zu berücksichtigen. Die europäische Zulassungsbehörde European Medicines Agency (EMA) stellt die Inhalte der Fachinformation zu Xenpozyme (Wirkstoff: Olipudase alfa) unter folgendem Link frei zugänglich zur Verfügung (letzter Zugriff: 8. September 2026):

https://www.ema.europa.eu/de/documents/product-information/xenpozyme-epar-product-information_de.pdf

Die Einleitung und Überwachung der Behandlung mit Olipudase alfa sollte durch in der Therapie mit ASMD erfahrene Fachärztinnen und Fachärzte erfolgen.

Gemäß den Vorgaben der Europäischen Zulassungsbehörde (EMA) hinsichtlich zusätzlicher Maßnahmen zur Risikominimierung ist seitens des pharmazeutischen Unternehmers Schulungsmaterial, welches Informationen für medizinisches Fachpersonal und für

Patientinnen und Patienten (inkl. Patientenkarte) enthält, zur Verfügung zu stellen. Das Schulungsmaterial enthält insbesondere Informationen und Warnhinweise zum Risiko von schwerer Überempfindlichkeit oder Anaphylaxie.

4. Therapiekosten

Kinder, Jugendliche und Erwachsene mit Manifestationen eines Mangels an saurer Sphingomyelinase (ASMD) außerhalb des zentralen Nervensystems (ZNS) mit Typ A/B oder Typ B

Jahrestherapiekosten:

Bezeichnung der Therapie	Jahrestherapiekosten/ Patientin bzw. Patient
Zu bewertendes Arzneimittel:	
Olipudase alfa	125 267,12 € – 1 052 681,65 €
Best Supportive Care	patientenindividuell unterschiedlich
Zweckmäßige Vergleichstherapie:	
Best Supportive Care	patientenindividuell unterschiedlich

Kosten nach Abzug gesetzlich vorgeschriebener Rabatte (Stand Lauer-Taxe: 15. August 2026)

Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen: entfällt

II. Der Beschluss tritt mit Wirkung vom Tag seiner Veröffentlichung auf den Internetseiten des GBA am 15. Oktober 2026 in Kraft.

Die Tragenden Gründe zu diesem Beschluss werden auf den Internetseiten des GBA unter www.g-ba.de veröffentlicht.

Berlin, den 15. Oktober 2026

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Die Vorsitzende

Dr. Optendrenk