

# **Dossier zur Nutzenbewertung gemäß § 35a SGB V**

*Olezarsen (Tryngolza®)*

Swedish Orphan Biovitrum GmbH

## **Modul 4 A Addendum**

*Anwendung bei erwachsenen Patienten  
ergänzend zu einer Diät zur Behandlung des  
genetisch bestätigten familiären  
Chylomikronämie-Syndroms (FCS)*

Medizinischer Nutzen und  
medizinischer Zusatznutzen,  
Patientengruppen mit therapeutisch  
bedeutsamem Zusatznutzen

Stand: 19.01.2026

### 4.3.1.3.2 Endpunkt Morbidität: Bestätigte AP – RCT

#### Ereigniszeitanalyse – Zeit bis zum ersten bestätigten AP-Ereignis

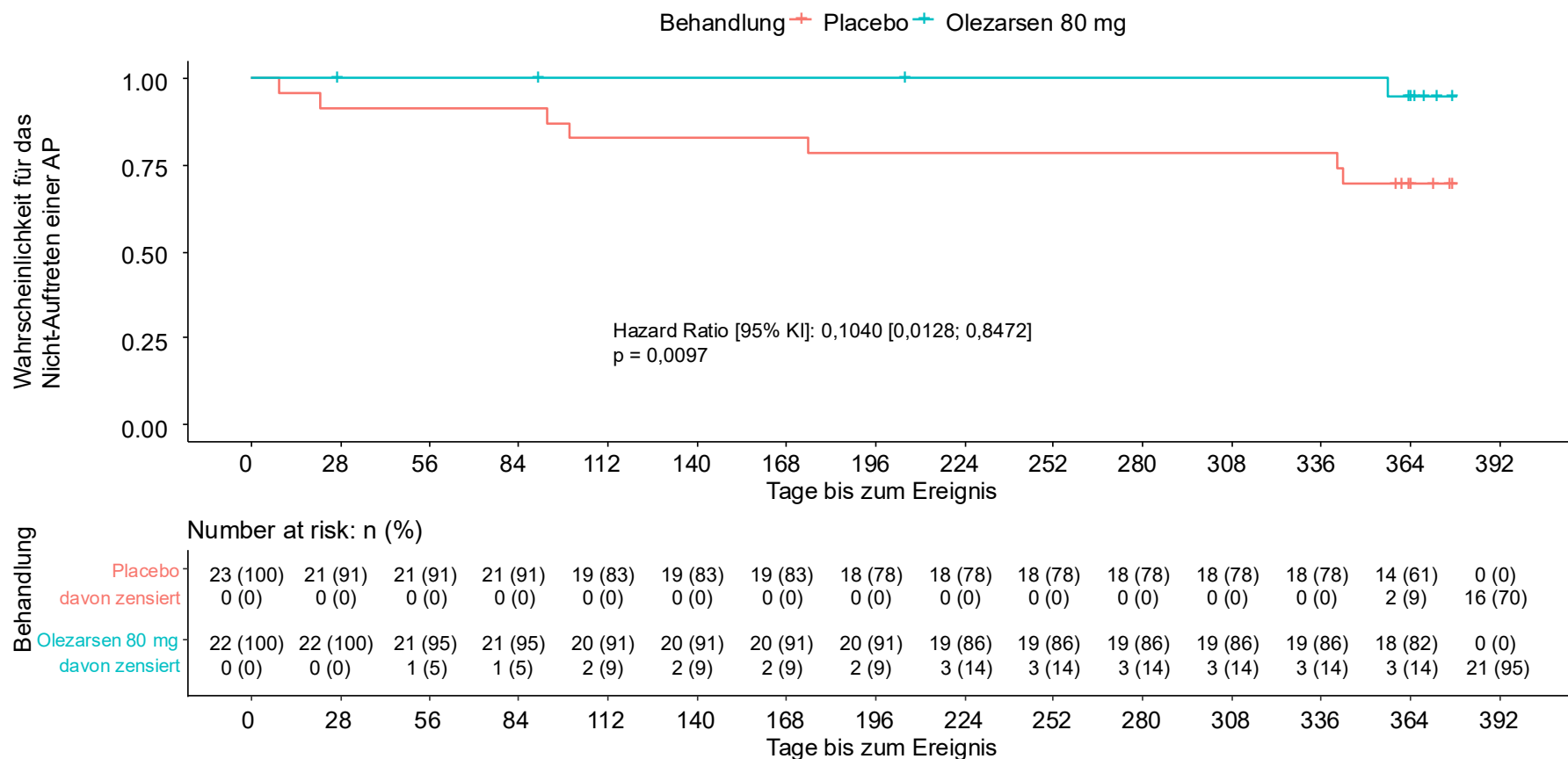


Abbildung 4-6 (aktualisiert): Ergebnisse für den Endpunkt Morbidität: Zeit bis zum ersten bestätigten AP-Ereignis – RCT mit dem zu bewertenden Arzneimittel – Balance Studie (FAS-Population)

Das Hazard Ratio wurde mit einem stratifizierten Cox-Modell berechnet, in das die Behandlung als fester Effekt und die Vorbehandlung mit Volanesorsen (Ja vs. Nein) und die Pankreatitis-Historie (Ja vs. Nein) als Stratifikationsfaktoren eingingen. Dargestellt ist der p-Wert des Log-Rank-Tests.

**Angaben zur Anzahl der Patienten mit AP-Ereignis und der Zensierungen:** Die Anzahl der Patienten mit AP-Ereignis betrug  $n = 1$  (4,5 %) im Olezarsen 80 mg-Arm und  $n = 7$  (30,4 %) im Placebo-Arm. Patienten mit vorzeitigem Studienabbruch wurden zum Zeitpunkt des Studienabbruchs (bzw. Ende der Beobachtung) zensiert, wenn zuvor kein Ereignis aufgetreten ist. Dies betrifft  $n = 3$  (13,6 %) Patienten im Olezarsen 80 mg-Arm ( $n = 2$  [9,1 %] Patienten aufgrund eines UE mit Zensierung an Tag 92 bzw. Tag 207;  $n = 1$  [4,5 %] Patient ist freiwillig aus der Studie ausgetreten und wurde an Tag 29 zensiert). Keiner dieser Olezarsen 80 mg Patienten hatte eine AP. Im Placebo-Arm brach  $n = 1$  (4,3 %) Patient die Studie aufgrund der Entscheidung des Prüfarztes ab. Dieser Patient des Placebo-Arms hatte jedoch vor dem Abbruch eine AP an Tag 22 und wurde mit dem Datum des AP-Ereignisses in die Analyse einbezogen. Patienten ohne Ereignisse und/oder Studienabbruch wurden am Ende der Beobachtung zensiert. Dies betrifft  $n = 18$  (81,8 %) Patienten im Olezarsen 80 mg-Arm und  $n = 16$  (69,6 %) Patienten im Placebo-Arm. Die Beobachtungsdauer betrug bei allen  $n = 18$  (81,8 %) Patienten des Olezarsen 80 mg-Arms  $> 365$  Tage. Im Placebo-Arm betrug die Beobachtungsdauer für  $n = 2$  (8,7 %) Patienten zwischen Tag 361 und Tag 363 und für  $n = 14$  (61 %) der Patienten  $\geq 364$  Tage. Daher beträgt die Number at Risk des Placebo-Arms zu Tag 364  $n = 14$  (61 %).

**Abkürzungen:** AP = akute Pankreatitis; FAS = Full Analysis Set; KI = Konfidenzintervall; RCT = randomisierte kontrollierte Studie

Quelle: Eigene Analysen