Arzneimittelbewertung auf einen Blick: A26-15[1]

Donidalorsen (hereditäres Angioödem)

20.08.2026

[1] Diese Zusammenfassung wird Ihnen als Service des IQWiG bereitgestellt. Für weitergehende Informationen zum Gegenstand und Ergebnis der Bewertung wird auf die Dossierbewertung zum Projekt A26-15 verwiesen. Über den Zusatznutzen beschließt der G-BA.

Fragestellung der Nutzenbewertung

Population	Erwachsene und Jugendliche ab 12 Jahren zur routinemäßigen Vorbeugung von wiederkehrenden Attacken des hereditären Angioödems
Intervention	Donidalorsen
Vergleichstherapie	eine Routine-Prophylaxe mit C1-Esterase-Inhibitor oder Lanadelumab oder Berotralstat
Endpunkte	mindestens 1 patientenrelevanter Endpunkt

Übersicht der positiven und negativen Effekte

	Größe der Effekte	Aussagekraft der Effekte
Mortalität	↔	–
Morbidität	↔	–
Symptome	↑↑ (monatliche HAE-Attackenrate)	★
Gesundheitsbezogene Lebensqualität	↔	–
Nebenwirkungen	↔	–
	Ø keine (geeigneten) Daten ↔ kein Vorteil oder Nachteil ↑ bzw. ↓ geringer Vorteil bzw. Nachteil ↑↑ bzw. ↓↓ mittelgroßer Vorteil bzw. Nachteil ↑↑↑ bzw. ↓↓↓ großer Vorteil bzw. Nachteil	– nicht zutreffend ★ gering ★★ mittel ★★★ hoch

Insgesamt: mittelgroßer Vorteil mit geringer Aussagekraft

Evidenzbasis und inhaltliche Besonderheiten

- Evidenzbasis: Donidalorsen wurde indirekt über Placebo mit Berotralstat verglichen, dazu lagen jeweils doppelblinde, randomisierte Studien vor: OASIS-HAE zum Vergleich von Donidalorsen (n = 45) mit Placebo (n = 22), APeX-2 zum Vergleich von Berotralstat (n = 40) mit Placebo (n = 40) und APeX-J zum Vergleich von Berotralstat (n = 7) mit Placebo (n = 6)
- Es ist unklar, wie der Schweregrad der HAE-Attacken in den APeX-Studien eingeschätzt wurde und deshalb kann die Anzahl der schweren HAE-Attacken zwischen den Studien nicht verglichen werden.
- Die Einschätzung des Schweregrads von unerwünschten Ereignissen erfolgte im Rahmen der Studie OASIS-HAE durch den Prüfarzt und kann deshalb nicht ausgewertet werden.

Wesentliche Studienergebnisse

Endpunktkategorie Endpunkt Vergleich Studie	Donidalorsen bzw. Berotralstat N	Mittlere monatliche Rate [95 %-KI]	Placebo N	Mittlere monatliche Rate [95 %-KI]	Gruppenunterschied Ratenverhältnis [95 %-KI]; p-Wert
Morbidität					
HAE-Attacken					
monatliche Rate					
Donidalorsen vs. Placebo					
OASIS-HAE	45	0,44 [0,27; 0,73]	22	2,26 [1,66; 3,09]	0,19 [0,11; 0,35]; < 0,001
Berotralstat vs. Placebo					
APeX-2	40	1,33 [k. A.]	39	2,35 [k. A.]	0,56 [0,41; 0,78]; < 0,001
APeX-J	7	1,08 [k. A.]	6	2,12 [k. A.]	0,51 [0,33; 0,79]; < 0,003
Gesamt					0,54 [0,42; 0,70]; < 0,001
Indirekter Vergleich über Brückenkomparatoren:					
Donidalorsen vs. Berotralstat					0,36 [0,19; 0,69]; 0,002

Endpunktkategorie Endpunkt Vergleich Studie	Donidalorsen bzw. Berotralstat N	 Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)	Placebo N	 Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)	Gruppenunterschied RR [95 %-KI]; p-Wert
Attackenfreiheit					
Donidalorsen vs. Placebo					
OASIS-HAE	45	14 (31,1)	22	1 (4,5)	6,84 [0,96; 48,77]; 0,055
Berotralstat vs. Placebo					
APeX-2	40	2 (5,0)	39	1 (2,6)	1,95 [0,18; 20,64]; 0,579
APeX-J	7	0 (0)	6	0 (0)	0,88 [0,02; 38,59]; 0,945
Gesamt					1,56 [0,21; 11,54]; 0,664
Indirekter Vergleich über Brückenkomparatoren:					
Donidalorsen vs. Berotralstat					4,39 [0,27; 72,53]; 0,302

Endpunktkategorie Endpunkt Vergleich Studie	Donidalorsen bzw. Berotralstat N	 Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)	Placebo N	 Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)	Gruppenunterschied RR [95 %-KI]; p-Wert
Mortalität					
Gesamtmortalität					
Donidalorsen vs. Placebo					
OASIS-HAE	45	0 (0)	22	0 (0)	–
Berotralstat vs. Placebo					
APeX-2	40	0 (0)	39	0 (0)	–
APeX-J	7	0 (0)	6	0 (0)	–
Indirekter Vergleich über Brückenkomparatoren:					nicht vorgelegt
Nebenwirkungen					
SUEs					
Donidalorsen vs. Placebo					
OASIS-HAE	45	0 (0,0)	22	1 (4,5)	0,17 [0,01; 3,93]; 0,267
Berotralstat vs. Placebo					
APeX-2	40	0 (0)	39	3 (7,7)	0,14 [0,01; 2,61]; 0,188
APeX-J	7	0 (0)	6	0 (0)	–
Indirekter Vergleich über Brückenkomparatoren:					
Donidalorsen vs. Berotralstat					1,20 [0,02; 91,20]; 0,935
schwere UEs	keine geeigneten Daten für den indirekten Vergleich				

Endpunktkategorie Endpunkt Vergleich Studie	Donidalorsen bzw. Berotralstat N	 Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)	Placebo N	 Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)	Gruppenunterschied RR [95 %-KI]; p-Wert
Abbruch wegen UEs					
Donidalorsen vs. Placebo					
OASIS-HAE	45	0 (0,0)	22	0 (0,0)	–
Berotralstat vs. Placebo					
APeX-2	40	1 (2,5)	39	1 (2,6)	0,98 [0,06; 15,05]; 0,986
APeX-J	7	0 (0)	6	1 (16,7)	0,29 [0,01; 6,07]; 0,426
Gesamt					0,57 [0,07; 4,34]; k. A.
Indirekter Vergleich über Brückenkomparatoren:					
Donidalorsen vs. Berotralstat					n. b.

Endpunktkategorie Endpunkt Vergleich Studie	Donidalorsen bzw. Berotralstat N	Werte Studienbeginn MW (SD)	Mittlere Änderung zu Behandlungsende MW(SE)	Placebo N	Werte Studienbeginn MW (SD)	Mittlere Änderung zu Behandlungsende MW (SE)	Gruppenunterschied MWD [95 %-KI]; p-Wert
Morbidität							
Aktivitätsbeeinträchtigung (WPAI)							
Donidalorsen vs. Placebo							
OASIS-HAE	44	k. A.	−2,2 (0,4)	22	k. A.	−1,4 (0,5)	−0,83 [−2,09; 0,43]; 0,192
Berotralstat vs. Placebo							
APeX-2	38	3,6 (2,8)	−1,6 (0,4)	36	4,1 (2,8)	−1,2 (0,4)	−0,5 [−1,7; 0,7]; 0,406
APeX-J	7	3,3 (2,8)	1,0 (1,0)	6	1,3 (3,3)	−1,0 (1,1)	2,1 [−1,2; 5,4]; 0,200
Gesamt							−0,20 [−1,32; 0,93]; 0,733
Indirekter Vergleich über Brückenkomparatoren:							
Donidalorsen vs. Berotralstat							−0,63 [−2,32; 1,06]; 0,463
Gesundheitszustand (EQ-5D VAS)							
Donidalorsen vs. Placebo							
OASIS-HAE	44	82,8 (15,0)	−0,9 (2,0)	22	86,8 (10,1)	−2,5 (3,0)	1,53 [−5,53; 8,59]; 0,668
Berotralstat vs. Placebo							
APeX-2	38	82,9 (12,6)	2,7 (1,8)	36	85,2 (10,8)	3,3 (1,8)	−0,6 [−5,8; 4,5]; 0,807
APeX-J	7	75,7 (30,6)	8,4 (4,7)	6	80,5 (26,3)	−3,6 (5,1)	12,0 [−3,7; 27,8]; 0,120
Gesamt							0,62 [−4,28; 5,51]; 0,805
Indirekter Vergleich über Brückenkomparatoren:							
Donidalorsen vs. Berotralstat							0,91 [−7,68; 9,50]; 0,836

Endpunktkategorie Endpunkt Vergleich Studie	Donidalorsen bzw. Berotralstat N	Werte Studienbeginn MW (SD)	Mittlere Änderung zu Behandlungsende MW(SE)	Placebo N	Werte Studienbeginn MW (SD)	Mittlere Änderung zu Behandlungsende MW (SE)	Gruppenunterschied MWD [95 %-KI]; p-Wert
Gesundheitsbezogene Lebensqualität							
AE-QoL							
Gesamtscore							
Donidalorsen vs. Placebo							
OASIS-HAE	45	45,6 (16,8)	−24,8 (2,6)	22	45,4 (17,0)	−6,2 (3,8)	−18,56 [−27,67; −9,45]; < 0,001
Berotralstat vs. Placebo							
APeX-2	38	43,0 (16,9)	−15,8 (2,7)	36	45,9 (20,1)	−11,0 (2,7)	−4,83 [−12,39; 2,74]; 0,207
APeX-J	7	39,5 (24,8)	−17,1 (6,5)	6	40,4 (16,0)	0,1 (7,0)	−17,26 [−38,68; 4,15]; 0,103
Gesamt							−6,21 [−13,34; 0,92]; 0,088
Indirekter Vergleich über Brückenkomparatoren:							
Donidalorsen vs. Berotralstat							−12,35 [−23,92; −0,79]; 0,036
						SMD [95 %-KI]:	−0,45 [−0,87; −0,02]

Referenzen

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen. Donidalorsen (hereditäres Angioödem); Nutzenbewertung gemäß § 35a SGB V; Dossierbewertung [online]. 2026 [Zugriff: 19.06.2026]. URL: https://doi.org/10.60584/A26-15.

Gemeinsamer Bundesausschuss. Nutzenbewertungsverfahren zum Wirkstoff Donidalorsen (Hereditäres Angioödem, Prophylaxe, ≥ 12 Jahre) [online]. 2026 [Zugriff: 19.06.2026]. URL: https://www.g-ba.de/bewertungsverfahren/nutzenbewertung/1315/.

Impressum

Herausgeber

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG)

Anschrift

Siegburger Str. 237
50679 Köln

Tel.: +49 221 35685-0
Fax: +49 221 35685-1
E-Mail: info@iqwig.de
Internet: www.iqwig.de