Arzneimittelbewertung auf einen Blick: A26-48[1]

Olipudase alfa (Mangel an saurer Sphingomyelinase)

23.09.2026

[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 A26-48 verwiesen. Über den Zusatznutzen beschließt der GBA.

Fragestellung der Nutzenbewertung

Population	Kinder, Jugendliche und Erwachsene mit Manifestationen eines Mangels an saurer Sphingomyelinase (ASMD) außerhalb des zentralen Nervensystems (ZNS) von Typ A/B oder Typ B
Intervention	Olipudase alfa
Vergleichstherapie	Best Supportive Care
Endpunkte	mindestens 1 patientenrelevanter Endpunkt

Übersicht der positiven und negativen Effekte – Fragestellung

	Größe der Effekte	Aussagekraft der Effekte
Mortalität	Erwachsene: ↔ Kinder und Jugendliche: Ø	–
Morbidität	↑ (Verringerung des Milzvolumens)	★
Symptome	↔	–
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: Vorteil unklarer Größe mit geringer Aussagekraft

Evidenzbasis und inhaltliche Besonderheiten

- Evidenzbasis:
  - für Erwachsene: Doppelbinde RCT ASCEND zum Vergleich von Olipudase alfa (N = 18) mit Placebo (N = 18), in der in beiden Studienarmen Best supportive Care verfügbar war. Nach 1 Jahr erhielten alle Patientinnen und Patienten Olipudase alfa und wurden bis zu 4 weitere Jahre behandelt (nicht vergleichende Phase).
  - für Kinder: Offene, 1-armige Studie ASCEND-Peds (N = 20) und die zugehörige offene, 1-armige Langzeitstudie LTS13632, in die alle pädiatrischen Patientinnen und Patienten nach Abschluss der Studie ASCEND-Peds übergingen.

- Da die Patientinnen und Patienten bezüglich des vergrößerten Milzvolumens eine besonders schwere Ausgangssituation haben, ist davon auszugehen, dass das Risiko für schwere Folgekomplikationen durch die deutliche Verringerung des Milzvolumens relevant reduziert wird.
- Eine deutliche Verkleinerung der Milz im natürlichen Krankheitsverlauf mit Best Supportive Care ist nicht zu erwarten. Daher werden die nicht vergleichenden Daten für Kinder und Jugendliche zur Beurteilung des Milzvolumens betrachtet.

Wesentliche Studienergebnisse

Studie Endpunktkategorie Endpunkt	Olipudase alfa			Placebo			Olipudase alfa vs. Placebo
	N	Werte Studien-beginn MW (SD)	Mittlere prozentuale Änderung MW (SE)	N	Werte Studien-beginn MW (SD)	Mittlere prozentuale Änderung MW (SE)	MWD [95 %-KI]; p-Wert
ASCEND							
Morbidität							
Milzvolumen							
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	15	11,7 (4,9)	−59,7 (1,8)			–	
Veränderung zu Woche 260 (ergänzend dargestellt)	*13*	*11,7 (4,9)*	*−62,1 (3,0)*			–	

Studie Endpunktkategorie Endpunkt	Olipudase alfa N	Olipudase alfa Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)	Placebo N	Placebo Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)	Olipudase alfa vs. Placebo RR [95 %-KI]; p-Wert
ASCEND					
Mortalität					
Gesamtmortalität	18	0 (0)	18	0 (0)	–
Nebenwirkungen					
UEs (ergänzend dargestellt)	18	18 (100)	18	18 (100)	–
SUEs	18	3 (16,7)	18	4 (22,2)	0,75 [0,19; 3,03]; 0,678
Abbruch wegen UEs	18	0 (0)	18	0 (0)	–
infusionsbedingte Reaktionen	keine geeigneten Daten				

Endpunktkategorie Endpunkt	Olipudase alfa		
	N	Werte Studienbeginn MW (SD)	Änderung zu Zeitpunkt MWD(SE)
ASCEND-Peds und LTS13632			
Morbidität			
Milzvolumen			
prozentuale Veränderung zu Woche 52 (12 Monate)	20	19,0 (8,8)	−49,2 (2,0)
prozentuale Veränderung zu Woche 157 (36 Monate)	17	19,0 (8,8)	−67,4 (1,5)
prozentuale Veränderung zu Woche 417 (96 Monate) (ergänzend dargestellt)	*3*	*19,0 (8,8)*	*−74,7 (3,0)*
Körpergröße (z-score)			
Veränderung zu Woche 52	19	−2,1 (0,8)	0,6 (0,1)
Veränderung zu Woche 183 (42 Monate)	14	−2,1 (0,8)	1,7 (0,1)
Veränderung zu Woche 366 (84 Monate) (ergänzend dargestellt)	*2*	*−2,1 (0,8)*	*0,9 (n. b.)*

Studie Endpunktkategorie Endpunkt	Olipudase alfa N	Olipudase alfa Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)
ASCEND-Peds		
Mortalität		
Gesamtmortalität	20	0 (0)
Nebenwirkungen		
UEs (ergänzend dargestellt)	20	20 (100)
SUEs	20	5 (25)
Abbruch wegen UEs	20	0 (0)
infusionsbedingte Reaktionen		keine geeigneten Daten

Referenzen

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen. Olipudase alfa (Mangel an saurer Sphingomyelinase); Nutzenbewertung gemäß § 35a SGB V; Dossierbewertung [online]. 2026 [Zugriff: 05.08.2026]. URL: https://doi.org/10.60584/A26-48.

Gemeinsamer Bundesausschuss. Nutzenbewertungsverfahren zum Wirkstoff Olipudase alfa (Neubewertung Orphan > 30 Mio: Mangel an saurer Sphingomyelinase (ASMD) Typ A/B oder Typ B) [online]. 2026 [Zugriff: 06.08.2026]. URL: https://www.g-ba.de/bewertungsverfahren/nutzenbewertung/1340/.

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