

Olezarsen (familiäres Chylomikronämiesyndrom)

Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V

A decorative horizontal bar consisting of 18 squares of varying shades of blue and grey. The word 'DOSSIERBEWERTUNG' is written in white capital letters on a dark blue background that spans the first 15 squares of the bar.

DOSSIERBEWERTUNG

Projekt: G25-38

Version: 1.0

Stand: 26.02.2026

IQWiG-Berichte – Nr. 2197

DOI: 10.60584/G25-38

Impressum

Herausgeber

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen

Thema

Olezarsen (familiäres Chylomikronämiesyndrom) – Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11
SGB V

Auftraggeber

Gemeinsamer Bundesausschuss

Datum des Auftrags

28.11.2025

Interne Projektnummer

G25-38

DOI-URL

<https://doi.org/10.60584/G25-38>

Anschrift des Herausgebers

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen
Siegburger Str. 237
50679 Köln

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

ISSN: 1864-2500

Zitiervorschlag

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen. Olezarsen (familiäres Chylomikronämiesyndrom); Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V; Dossierbewertung [online]. 2026 [Zugriff: TT.MM.JJJJ]. URL: <https://doi.org/10.60584/G25-38>.

Schlagwörter

Olezarsen, Hyperlipoproteinämie Typ I, Medizinische Versorgungskosten, Epidemiologie

Keywords

Olezarsen, Hyperlipoproteinemia Type I, Health Care Costs, Epidemiology

Medizinisch-fachliche Beratung

Für die vorliegende Dossierbewertung wurde keine Beraterin / kein Berater zu medizinisch-fachlichen Fragen eingebunden.

An der Dossierbewertung beteiligte Mitarbeiterinnen und Mitarbeiter des IQWiG

- Mandy Kromp
- Stefan Kobza
- Sarah Mostardt
- Carolin Weigel

Inhaltsverzeichnis

	Seite
Tabellenverzeichnis	v
Abkürzungsverzeichnis.....	vi
1 Hintergrund.....	1
1.1 Anwendungsgebiet.....	1
1.2 Verlauf des Projekts.....	1
1.3 Verfahren der frühen Nutzenbewertung bei Orphan Drugs	1
2 Nutzenbewertung und Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung.....	3
3 Anzahl der Patientinnen und Patienten sowie Kosten der Therapie	4
3.1 Kommentar zur Anzahl der Patientinnen und Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen (Modul 3 A, Abschnitt 3.2).....	4
3.1.1 Beschreibung der Erkrankung und Charakterisierung der Zielpopulation.....	4
3.1.2 Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation	4
3.1.2.1 Beschreibung des Vorgehens des pU	4
3.1.2.2 Bewertung des Vorgehens des pU.....	5
3.1.2.3 Zukünftige Änderung der Anzahl der Patientinnen und Patienten	5
3.1.2.4 Anzahl der Patientinnen und Patienten – Zusammenfassung	6
3.2 Kommentar zu den Kosten der Therapie für die GKV (Modul 3 A, Abschnitt 3.3)....	6
3.2.1 Behandlungsdauer.....	6
3.2.2 Verbrauch	6
3.2.3 Kosten des zu bewertenden Arzneimittels	6
3.2.4 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen.....	6
3.2.5 Jahrestherapiekosten	6
3.2.6 Kosten der Therapie für die GKV – Zusammenfassung.....	7
3.2.7 Versorgungsanteile.....	8
3.3 Kommentar zur Anzahl der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an deutschen Prüfstellen (Modul 3 A, Abschnitt 3.6)	8
4 Literatur	9

Tabellenverzeichnis

	Seite
Tabelle 1: Schritte des pU zur Ermittlung der Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation	4
Tabelle 2: Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation	6
Tabelle 3: Kosten für die GKV für die zu bewertende Therapie pro Patientin oder Patient bezogen auf 1 Jahr	7

Abkürzungsverzeichnis

Abkürzung	Bedeutung
CTD	Common Technical Document
FCS	familiäres Chylomikronämiesyndrom
G-BA	Gemeinsamer Bundesausschuss
GKV	gesetzliche Krankenversicherung
IQWiG	Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen
pU	pharmazeutischer Unternehmer
SGB	Sozialgesetzbuch

1 Hintergrund

1.1 Anwendungsgebiet

Olezarsen wird angewendet bei erwachsenen Patientinnen und Patienten ergänzend zu einer Diät zur Behandlung des genetisch bestätigten familiären Chylomikronämiesyndroms (FCS).

1.2 Verlauf des Projekts

Olezarsen ist ein sogenanntes Orphan Drug, also ein Arzneimittel, das zur Behandlung eines seltenen Leidens zugelassen¹ ist. Für Orphan Drugs gilt nach § 35a Abs. 1 Satz 11 Sozialgesetzbuch (SGB) V der medizinische Zusatznutzen bereits durch die Zulassung als belegt.

Daher beauftragte der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG), das Dossier des pharmazeutischen Unternehmers (pU) allein im Hinblick auf die folgenden Angaben zu bewerten:

- Anzahl der Patientinnen und Patienten in der Zielpopulation der gesetzlichen Krankenversicherung (GKV)
- Kosten der Therapie für die GKV
- Anteil der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an Prüfstellen im Geltungsbereich des SGB V

Das Dossier wurde dem IQWiG am 28.11.2025 übermittelt.

Bei Abschnittsverweisen, die sich auf Abschnitte im Dossier des pU beziehen, ist zusätzlich das betroffene Modul des Dossiers angegeben. Abschnittsverweise ohne Angabe eines Moduls beziehen sich auf den vorliegenden Bericht.

Die Verantwortung für die vorliegende Bewertung und für das Bewertungsergebnis liegt ausschließlich beim IQWiG. Die Bewertung wird zur Veröffentlichung an den G-BA übermittelt, der ein Stellungnahmeverfahren durchführt. Über die Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation sowie über die Kosten der Therapie für die GKV beschließt der G-BA.

1.3 Verfahren der frühen Nutzenbewertung bei Orphan Drugs

Die vorliegende Dossierbewertung ist Teil des Gesamtverfahrens zur frühen Nutzenbewertung von Orphan Drugs. Sie wird gemeinsam mit dem Dossier des pU (Module 1 bis 4) und der Bewertung des Ausmaßes des gesetzlich zu unterstellenden Zusatznutzens durch den G-BA auf der Website des G-BA veröffentlicht. Im Anschluss daran führt der G-BA ein

¹ nach der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16.12.1999 über Arzneimittel für seltene Leiden

Stellungnahmeverfahren durch. Der G-BA trifft seinen Beschluss zur frühen Nutzenbewertung nach Abschluss des Stellungnahmeverfahrens. Durch den Beschluss des G-BA werden ggf. die in der Dossierbewertung dargestellten Informationen ergänzt.

Weitere Informationen zum Stellungnahmeverfahren und zur Beschlussfassung des G-BA sowie das Dossier (Module 1 bis 4) des pU finden sich auf der Website des G-BA (www.g-ba.de).

2 Nutzenbewertung und Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung

Das Ausmaß des Zusatznutzens wird durch den G-BA bewertet. Ggf. werden vom G-BA außerdem Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung adressiert. Aus diesen Gründen sind die Bewertung des Zusatznutzens und Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung nicht Gegenstand dieses Berichts.

3 Anzahl der Patientinnen und Patienten sowie Kosten der Therapie

3.1 Kommentar zur Anzahl der Patientinnen und Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen (Modul 3 A, Abschnitt 3.2)

Die Angaben des pU zur Anzahl der Patientinnen und Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen befinden sich in Modul 3 A (Abschnitt 3.2) des Dossiers.

3.1.1 Beschreibung der Erkrankung und Charakterisierung der Zielpopulation

Der pU stellt die Erkrankung des familiären Chylomikronämiesyndroms (FCS) nachvollziehbar und plausibel dar. Die Zielpopulation charakterisiert er korrekt gemäß der Fachinformation [1]. Demnach wird Olezarsen angewendet bei erwachsenen Patientinnen und Patienten ergänzend zu einer Diät zur Behandlung des genetisch bestätigten FCS.

3.1.2 Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation

3.1.2.1 Beschreibung des Vorgehens des pU

Der pU schätzt die Anzahl der Patientinnen und Patienten in der Zielpopulation der gesetzlichen Krankenversicherung (GKV) über mehrere Schritte, die in Tabelle 1 zusammengefasst dargestellt sind und anschließend beschrieben werden.

Tabelle 1: Schritte des pU zur Ermittlung der Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation

Schritt	Vorgehen des pU	Anteil	Ergebnis (Personenzahl) ^a
1	erwachsene Einwohnerinnen und Einwohner in Deutschland zum Stichtag 31.12.2024	–	69 602 098
2	Prävalenz des FCS	1–2 Patientinnen und Patienten pro 1 Million Einwohner	70–140
3	Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation	89,42 %	63–126
a. Abweichungen der Patientenzahlen sind rundungsbedingt. FCS: familiäres Chylomikronämiesyndrom; GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer			

Schritt 1: erwachsene Einwohnerinnen und Einwohner in Deutschland zum Stichtag 31.12.2024

Der pU entnimmt einer Fortschreibung des Bevölkerungsstandes durch das Statistische Bundesamt [2] um Stichtag 31.12.2024 eine Anzahl von 69 602 098 erwachsenen Einwohnerinnen und Einwohnern in Deutschland.

Schritt 2: Prävalenz des FCS

Der pU schätzt die Prävalenzrate von FCS auf 1 bis 2 Patientinnen und Patienten pro 1 Million Einwohner. Er stützt sich dabei auf die früheren Nutzenbewertungsverfahren zu Volanesorsen aus dem Jahr 2019 [3] und Alipogentiparvovec aus dem Jahr 2015 [4] sowie weitere Veröffentlichungen [5-8].

Schritt 3: Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation

Unter Berücksichtigung eines GKV-Anteils von 89,42 % [2,9] ermittelt der pU eine Anzahl von 63 bis 126 Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation.

3.1.2.2 Bewertung des Vorgehens des pU

Das Vorgehen des pU zur Ermittlung der Zielpopulation ist weitgehend nachvollziehbar. Der pU selbst weist darauf hin, dass seine Angaben zur Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation aufgrund der Seltenheit der Erkrankung und des Fehlens belastbarer Daten mit Unsicherheit behaftet sind.

Einordnung im Vergleich zu bisherigen Verfahren

Im früheren Nutzenbewertungsverfahren zu Volanesorsen aus dem Jahr 2019 [3] bestand – im Gegensatz zum vorliegenden Verfahren – eine Einschränkung auf Patientinnen und Patienten mit einem hohen Risiko für Pankreatitis, bei denen das Ansprechen auf eine Diät und eine triglyzeridsenkende Therapie unzureichend war. In der damaligen Herleitung der GKV-Zielpopulation wurde diese Einschränkung jedoch nicht berücksichtigt, sodass die Zahlen der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation aus beiden Verfahren zueinander eingeordnet werden können. Das Vorgehen des pU im aktuellen Verfahren ist methodisch vergleichbar, die geringen Abweichungen der GKV-Zielpopulation begründen sich durch fortgeschriebene Bevölkerungsdaten und GKV-Versichertenanteile sowie Zwischenrundungsschritte.

3.1.2.3 Zukünftige Änderung der Anzahl der Patientinnen und Patienten

Der pU geht davon aus, dass die Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation in den nächsten Jahren konstant bleibt.

3.1.2.4 Anzahl der Patientinnen und Patienten – Zusammenfassung

Tabelle 2: Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation

Bezeichnung der Therapie	Bezeichnung der Patientengruppe	Anzahl der Patientinnen und Patienten ^a	Kommentar
Olezarsen	Erwachsene mit genetisch bestätigtem FCS, ergänzend zu einer Diät	63–126	Das Vorgehen des pU zur Ermittlung der Zielpopulation ist weitgehend nachvollziehbar. Die Angaben des pU sind jedoch aufgrund der Seltenheit der Erkrankung und des Fehlens belastbarer Daten weiterhin mit Unsicherheit behaftet.
a. Angabe des pU FCS: familiäres Chylomikronämiesyndrom; GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer			

3.2 Kommentar zu den Kosten der Therapie für die GKV (Modul 3 A, Abschnitt 3.3)

Die Angaben des pU zu den Kosten der Therapie für die GKV befinden sich in Modul 3 A (Abschnitt 3.3) des Dossiers.

3.2.1 Behandlungsdauer

Die Angaben des pU zur Behandlungsdauer von Olezarsen entsprechen der Fachinformation [1]. Der pU geht für Olezarsen von einer kontinuierlichen Behandlung aus. Dies ist plausibel.

3.2.2 Verbrauch

Die Angaben des pU zum Verbrauch entsprechen der Fachinformation [1].

3.2.3 Kosten des zu bewertenden Arzneimittels

Die Angaben des pU zu den Kosten von Olezarsen geben korrekt den Stand der Lauer-Taxe vom 01.12.2025, der erstmaligen Listung, wieder.

3.2.4 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen

Der pU gibt korrekt an, dass der Fachinformation [1] keine zusätzlich notwendigen GKV-Leistungen zu entnehmen sind.

3.2.5 Jahrestherapiekosten

Der pU ermittelt für Olezarsen Jahrestherapiekosten pro Patientin bzw. Patient in Höhe von 337 185,06 €. Die Jahrestherapiekosten beinhalten ausschließlich Arzneimittelkosten, da keine Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen anfallen. Die Angaben des pU sind plausibel.

3.2.6 Kosten der Therapie für die GKV – Zusammenfassung

Tabelle 3: Kosten für die GKV für die zu bewertende Therapie pro Patientin oder Patient bezogen auf 1 Jahr

Bezeichnung der Therapie	Bezeichnung der Patientengruppe	Arzneimittelkosten in € ^a	Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen in € ^a	Kosten für sonstige GKV-Leistungen (gemäß Hilfstaxe) in € ^a	Jahres-therapiekosten in € ^a	Kommentar
Olezarsen	Erwachsene mit genetisch bestätigtem FCS, ergänzend zu einer Diät	337 185,06	0	0	337 185,06	Die Angaben des pU sind plausibel.
a. Angabe des pU						
FCS: familiäres Chylomikronämiesyndrom; GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer						

3.2.7 Versorgungsanteile

Der pU geht davon aus, dass Olezarsen grundsätzlich für alle Patientinnen und Patienten der GKV-Zielpopulation infrage kommt. Er beschreibt allerdings einschränkend, dass eine nähere Quantifizierung des Versorgungsanteils derzeit nicht möglich sei, da Patientinnen und Patienten, für die eine Behandlung mit Olezarsen infrage kommt, gegebenenfalls zum jetzigen Zeitpunkt mit einer alternativen Behandlungsoption behandelt werden. Zudem thematisiert der pU Kontraindikationen und Therapieabbrüche von Olezarsen. Der pU geht davon aus, dass der überwiegende Anteil der Patientinnen und Patienten im Rahmen der ambulanten Versorgung behandelt wird.

3.3 Kommentar zur Anzahl der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an deutschen Prüfstellen (Modul 3 A, Abschnitt 3.6)

Die Angaben des pU zur Anzahl der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an den klinischen Prüfungen zu dem Arzneimittel, die an Prüfstellen im Geltungsbereich des SGB V teilgenommen haben, befinden sich in Modul 3 A (Abschnitt 3.6) des Dossiers.

Der pU benennt in Modul 3 A folgende Studien: Balance-Studie (ISIS 678354-CS3), ISIS 678354-CS7 sowie ISIS 678354-CS13 und gibt über diese Studien den Anteil der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an Prüfstellen im Geltungsbereich des SGB V mit 0 % an.

Die vom pU eingeschlossene Studie ISIS 678354-CS13 ist nicht zu berücksichtigen, da in diese Open-Label-Extension-Studie ausschließlich Patientinnen und Patienten eingehen, die an der bereits herangezogenen klinischen Balance-Studie (ISIS 678354-CS3) teilgenommen haben und somit bereits in der Berechnung berücksichtigt wurden.

Im Abgleich mit dem Common Technical Document (CTD) wurden die ebenfalls relevanten Studien ISIS 678354-CS8, ISIS 678354-CS2, AKCEA-CS1 und ISIS 678354-CS20 identifiziert, zu denen der pU in Modul 3 A keine Angaben geliefert hat.

Unter Berücksichtigung der zusätzlich relevanten Studien liegt der Anteil der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an Prüfstellen im Geltungsbereich des SGB V weiterhin bei 0 %, da es in keiner der relevanten Studien Teilnehmerinnen oder Teilnehmer an deutschen Prüfstellen gab.

4 Literatur

Das Literaturverzeichnis enthält Zitate des pU, in denen ggf. bibliografische Angaben fehlen.

1. Swedish Orphan Biovitrum. Tryngolza 80 mg Injektionslösung im Fertigpen. Fachinformation 2025.
2. Statistisches Bundesamt. Bevölkerung: Deutschland, Stichtag, Altersjahre (Code: 12411-0005) [online]. 2025 [Zugriff: 13.11.2025]. URL: <https://www-genesis.destatis.de/datenbank/online/statistic/12411/table/12411-0005>.
3. Gemeinsamer Bundesausschuss. Nutzenbewertungsverfahren zum Wirkstoff Volanesorsen (Chylomikronämiesyndrom); Nutzenbewertung nach § 35a SGB V [online]. 2020 [Zugriff: 20.01.2026]. URL: <https://www.g-ba.de/bewertungsverfahren/nutzenbewertung/479/>.
4. Gemeinsamer Bundesausschuss. Nutzenbewertungsverfahren zum Wirkstoff Alipogentiparvovec (Familiäre Lipoproteinlipasedefizienz); Nutzenbewertung nach § 35a SGB V [online]. 2015 [Zugriff: 28.01.2026]. URL: <https://www.g-ba.de/bewertungsverfahren/nutzenbewertung/146/>.
5. National Institute for Health and Care Excellence. Volanesorsen for treating familial chylomicronaemia syndrome [online]. 2020 [Zugriff: 06.03.2025]. URL: <https://www.nice.org.uk/guidance/hst13/resources/volanesorsen-for-treating-familial-chylomicronaemia-syndrome-pdf-50216257168837>.
6. National Organization for Rare Disorders. Familial Chylomicronemia Syndrome [online]. 2025 [Zugriff: 13.11.2025]. URL: <https://rarediseases.org/rare-diseases/familial-chylomicronemia-syndrome/#complete-report>.
7. NIHR Health Technology Briefing. Plozasiran for treating familial chylomicronaemia syndrome [online]. 2025 [Zugriff: 06.11.2025]. URL: <https://io.nihr.ac.uk/wp-content/uploads/2025/03/34037-Plozasiran-for-Familial-Chylomicronaemia-Syndrome-V1.0-MAR2025-NON-CONF.pdf>.
8. Bashir B, Downie P, Forrester N et al. Ethnic Diversity and Distinctive Features of Familial Versus Multifactorial Chylomicronemia Syndrome: Insights From the UK FCS National Registry. *Arterioscler Thromb Vasc Biol* 2024; 44(11): 2334-2346. <https://doi.org/10.1161/ATVBAHA.124.320955>.
9. Bundesministerium für Gesundheit. Gesetzliche Krankenversicherung - Mitglieder, mitversicherte Angehörige und Krankenstand - Monatswerte Januar - Dezember 2024 [online]. 2024 [Zugriff: 06.11.2025]. URL: https://www.bundesgesundheitsministerium.de/fileadmin/Dateien/3_Downloads/Statistiken/GKV/Mitglieder_Versicherte/KM1_Januar_bis_Dezember_2024.pdf.