MEDICINRÅDETS ANBEFALING

Olezarsen (Tryngolza) til behandling af genetisk bekræftet familiært chylomikronæmisyndrom hos voksne patienter som supplement til diæt

Medicinrådet anbefaler olezarsen til behandling af genetisk bekræftet familiært chylomikronæmisyndrom (FCS) hos voksne patienter som supplement til diæt.

Patienter skal ophøre behandlingen efter 6 måneder, hvis der er mindre end 25 % gennemsnitlig reduktion i triglycerid-niveauet i forhold til baseline over mindst to målinger målt inden for 3-6 måneder fra behandlingsopstart.

Medicinrådets begrundelse

Medicinrådet lægger vægt på, at olezarsen i tillæg til en fedtreduceret diæt reducerer fedtstoffet triglycerid i blodet. Behandlingen forventes at reducere tilfælde af akut betændelse i bugspytkirtlen (pankreatitis) og dermed forbedre patienternes livskvalitet og levetid. Da patienterne i det kliniske studie ikke er fulgt tilstrækkelig længe, er det dog meget usikkert i hvor høj grad olezarsen kan reducere forekomst af akut pankreatitis på længere sigt. Omkostningerne til behandlingen er høje. Medicinrådet har inddraget alvorlighedsprincippet i beslutningen, fordi sygdommen debuterer tidligt og medfører en betydelig livslang sygdomsbyrde med væsentligt forringet livskvalitet hos patienter, som ikke har andre effektive behandlingsmuligheder. Derfor anbefaler Medicinrådet olezarsen som mulig standardbehandling.

Om familiært chylomikronæmisyndrom

Familiært chylomikronæmisyndrom er en sjælden, kronisk, arvelig sygdom, hvor kroppen ikke kan nedbryde fedt fra kosten normalt. Det medfører meget høje niveauer af fedt, især triglycerider, i blodet og øger risikoen for gentagen akut pankreatitis, som kan være livstruende og føre til kronisk pankreatitis med irreversible skader på bugspytkirtlen. Patienterne diagnosticeres typisk omkring 30-årsalderen og oplever ofte tilbagevendende mavesmerter, kvalme, træthed og hjernetåge, hvilket kan påvirke patienternes livskvalitet betydeligt. Sygdommen kræver desuden en streng fedtreduceret diæt, som skal efterleves resten af livet.

Fordele ved olezarsen

Et klinisk studie viser, at olezarsen i tillæg til en fedtreduceret diæt kan reducere triglyceridniveauet og tilfælde af akut pankreatitis. Estimaterne for sundhedsgevinst (målt i QALY) og levetidsgevinst fra den sundhedsøkonomiske analyse er meget usikre.

Ulemper ved olezarsen

Olezarsen kan give bivirkninger som et lavere antal blodplader i blodet, smerter i arme og ben samt reaktioner dér, hvor medicinen bliver sprøjtet ind. Patienterne skal fortsat følge en streng fedtreduceret diæt under behandlingen.

Omkostninger

Behandlingen med olezarsen medfører udgifter til lægemidlet på ca. 24 mio. kr. for et gennemsnitligt behandlingsforløb på ca. 16 år. Omkostningerne er baseret på offentlige listepriser. Der er forhandlet en rabat, som efter virksomhedens ønske er fortrolig. Der er også rabat på den eksisterende behandling, og de reelle meromkostninger er lavere.

Usikkerheder

Der er usikkerhed om den langsigtede effekt på akut pankreatitis og dermed patienternes livskvalitet og overlevelse. Det skyldes især, at patienterne i det kliniske studie er fulgt i kort tid (53 uger).

NØGLEOPLYSNINGER OM VURDERINGEN

Ansøgende virksomhed	**Swedish Orphan Biovitrum AB (Sobi)**
Hvordan gives behandlingen?	Selvadministreret injektion under huden med præfyldt pen, 80 mg én gang månedligt.
Hvad kendetegner sygdommen?	Sygdommen er kronisk og arvelig og kan give mavesmerter, kvalme, træthed, hjernetåge og dermed nedsat livskvalitet. Derudover øger sygdommen risikoen for at udvikle betændelse i bugspytkirtlen markant, hvilket kan være dødeligt.
Hvilke patienter er egnede til behandling?	Voksne patienter er typisk 30 år når de opstarter behandling. Det vurderes, at der i Danmark er få prævalente patienter og indenfor 5 år vil 2 nydiagnosticerede komme til.
Hvad er den forventede restlevetid og livskvalitet?	Patienterne lever hele livet med sygdommen. Livskvaliteten er ofte påvirket af symptomer, frygten for øget risiko for smertefuld betændelse i bugspytkirtlen samt livslange strikse kostrestriktioner.
Hvilken behandling modtager patienter i dag?	Patienterne behandles med en stærkt fedtreduceret diæt samt eventuelt fibrater, statiner og omega-3-fedtsyrer. Olezarsen gives som tillæg til den nuværende standardbehandling.
Hvilke studier og analyser ligger til grund for vurderingen?	Vurderingen bygger på et randomiseret, dobbeltblindet, placebokontrolleret fase 3-studie (balance-studiet).
Hvad er lægemiddeludgifterne til behandlingen?	Forhandlede priser (SAIP): Fortroligt efter virksomhedens ønske. Listepris (AIP): ca. 25 mio. kr. i scenarie 1 og ca. 23 mio. kr. i scenarie kr. for et gennemsnitligt behandlingsforløb på hhv. 17 og 15 år *Estimatet er baseret på en sundhedsøkonomisk analyse.*
Hvad er meromkostningerne for sundhedsvæsenet?	Forhandlede priser (SAIP): Fortroligt efter virksomhedernes ønske. Listepriser (AIP): ca. 25 mio. kr. pr. patient i scenarie 1 og ca. 23 mio. kr. pr. patient i scenarie 2. *Estimeret merudgift pr. patient hvis den nye behandling anvendes frem for den nuværende behandling. Estimatet er baseret på en sundhedsøkonomisk analyse.*

Om Medicinrådets anbefaling

Medicinrådets anbefaling bygger på en faglig vurdering af lægemidlets effekt for patienterne og omkostningseffektivitet for sundhedsvæsenet, sammenlignet med den eksisterende behandling i det danske sundhedsvæsen. *Medicinrådets vurdering af olezarsen til behandling af genetisk bekræftet familiært chylomikronæmisyndrom (FCS) hos voksne patienter som supplement til diæt* er tilgængelig på Medicinrådets hjemmeside, www.medicinraadet.dk.

Versionslog

Version	Dato	Ændring
1.0	25. november 2026	Godkendt af Medicinrådet.