

# Anmodning om vurdering av legemiddel i Nye metoder

## Skjema for leverandører

En leverandør som ønsker offentlig finansiering av et legemiddel/legemiddelindikasjon i den norske spesialisthelsetjenesten, skal anmode om vurdering i Nye metoder ved å fylle ut dette skjemaet.

Utfyllt anmodningsskjema sendes til Nye metoder: [nyemetoder@helse-sorost.no](mailto:nyemetoder@helse-sorost.no)

Leverandøren skal på anmodningstidspunktet både ha et forslag til type helseøkonomisk analyse og en plan for når de leverer dokumentasjonen. Merk at dokumentasjon i henhold til oppdraget fra Bestillerforum for nye metoder må leveres inn senest 12 måneder etter anmodningstidspunktet.

Hele anmodningsskjemaet skal fylles ut. Mer informasjon og veiledning finnes i artikkelen [For leverandører \(nyemetoder.no\)](https://nyemetoder.no)

**Merk:** Skjemaet vil bli publisert i sin helhet på [nyemetoder.no](https://nyemetoder.no).

**Innsender er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet (må krysses av):**

**Fyll ut dato for innsending av skjema:** 06.03.2026

1 Kontaktopplysninger	
1.1 Leverandør (innehaver/søker av markedsføringstillatelse i Norge)	Swedish Orphan Biovitrum AB (publ)
1.2 Navn kontaktperson	David Cabrales Alin
1.3 Stilling kontaktperson	Associate Director Patient Access & Medical Science Manager
1.4 Telefon	+46 76-001 18 95
1.5 E-post	David.cabralesalin@sobi.com
Ekstern representasjon - vedlegg fullmakt	
1.6 Navn/virksomhet	N/A
1.7 Telefon og e-post	N/A

2 Legemiddelinformasjon og indikasjon	
2.1 Hva gjelder anmodningen? <i>Kryss av for hva anmodningen gjelder</i>	Et nytt virkestoff <input checked="" type="checkbox"/> En indikasjonsutvidelse / ny indikasjon <input type="checkbox"/> En ny styrke eller formulering <input type="checkbox"/>
2.2 Hvilken indikasjon gjelder anmodningen?	Tryngolza® er indisert som et supplement til diett hos voksne pasienter for behandling av genetisk bekreftet familiært kylomikronemisyndrom (FCS).

<p><i>Indikasjonen skal oppgis på norsk. Hvis prosess for godkjenning pågår, oppgi også indikasjon på engelsk.</i></p> <p><i>Merk: Leverandør skal anmode om vurdering av hele indikasjonen som de har fått godkjent eller søker om godkjenning for. Dersom leverandør foreslår en avgrensning til undergrupper, må dette begrunnes og leverandør må levere dokumentasjonen som trengs for å foreta en vurdering av undergruppen i tillegg til dokumentasjonen for hele indikasjonen.</i></p>	
<p>2.3 Handelsnavn</p>	<p>Tryngolza®</p>
<p>2.4 Generisk navn/virkestoff</p>	<p>Olezarsen</p>
<p>2.5 ATC-kode</p>	<p>C10AX</p>
<p>2.6 Administrasjonsform og styrke</p> <p><i>Oppgi også forventet dosering og behandlingstid</i></p> <p><i>Skriv kort</i></p>	<p>The recommended dose of olezarsen is 80 mg administered by subcutaneous injection once monthly.</p> <p>FCS is a chronic disease and treatment with Tryngolza® is expected to start in the adulthood, following the approved indication by EMA. If no response is observed after 6 months of treatment, the discontinuation of Tryngolza® should be considered on an individual basis by the prescribing physician.</p>
<p>2.7 Farmakoterapeutisk gruppe og virkningsmekanisme.</p> <p><i>Skriv kort</i></p>	<p>Pharmacotherapeutic group: lipid modifying agents, other lipid modifying agents.</p> <p>Mechanism of action: Olezarsen is an ASO-GaINAc3 conjugate that binds to apoC-III mRNA leading to mRNA degradation and resulting in a reduction of serum apoC-III protein. Reduction of apoC-III protein leads to increased clearance of plasma triglycerides (TGs) and very low-density lipoproteins (VLDL).</p>

<h3>3 Historikk – virkestoff og indikasjon</h3>	
<p>3.1 Har Nye metoder behandlet metoder med det aktuelle virkestoffet tidligere?</p> <p><i>Hvis ja, oppgi ID-nummer til metoden/metodene i Nye metoder</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>ID-nummer: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

<p>3.2 Er du kjent med om andre legemidler/virkestoff er vurdert i Nye metoder til samme indikasjon?</p> <p><i>Hvis ja, oppgi ID-nummer til metoden/metodene i Nye metoder</i></p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>ID-nummer: ID2018_025, Volanesorsen (Waylivra) as a dietary supplement in adult patients with genetically confirmed familial chylomicronaemia syndrome (FCS) and at high risk of pancreatitis, where response to diet and triglyceride lowering therapy has been inadequate, was nominated for the Nye Metoder process but it was never assessed.</p>
<p>3.3 Er du kjent med om det er gjennomført en metodevurdering i et annet land som kan være relevant i norsk sammenheng?</p> <p><i>Hvis ja, oppgi referanse</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Referanse: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

<h4>4 Status for markedsføringstillatelse (MT) og markedsføring</h4>	
<p>4.1 Har legemiddelet MT i Norge for en eller flere indikasjoner?</p> <p><i>Hvis ja - skriv inn dato for norsk MT for den første indikasjonen</i></p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>Dato for MT for første indikasjon: 17.09.2025</p>
<p>4.2 Markedsføres legemiddelet i Norge?</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p>
<p>4.3 Har legemiddelet MT i Norge for anmodet indikasjon?</p> <p><i>For alle metoder: Fyll ut prosedyrenummer i EMA (det europeiske legemiddelbyrået)</i></p> <p><i>Hvis metoden ikke har MT i Norge, fyll ut forventet tidspunkt (måned/år) for CHMP opinion i EMA.</i></p> <p><i>Hvis metoden har MT i Norge, fyll ut dato for MT</i></p>	<p>MT i Norge: Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>Prosedyrenummer i EMA: EMA/H/C/006477</p> <p><b>Hvis metoden ikke har MT:</b></p> <p>Forventet tidspunkt for CHMP opinion i EMA (måned/år): Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p> <p>Forventet tidspunkt for markedsføringstillatelse (MT) for den aktuelle indikasjonen i Norge (måned/år): Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p> <p><b>Hvis metoden har MT:</b></p> <p>Dato for MT i Norge for den aktuelle indikasjonen: 17.09.2025</p>

<p>4.4 Har legemiddelet en betinget markedsføringstillatelse for anmodet indikasjon?</p> <p><i>Hvis ja, fyll ut en beskrivelse av hva som skal leveres til EMA og når.</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Beskrivelse: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>4.5 Har anmodet indikasjon vært i «accelerated assessment» hos EMA?</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p>
<p>4.6 Har legemiddelet «orphan drug designation» i EMA?</p> <p><i>Hvis ja, fyll ut dato</i></p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>Dato for «orphan drug designation»: 21.08.2024</p>

## 5 Ordning for forenklet vurdering av PD-(L)1-legemidler

<p>5.1 Er legemiddelet registrert i Nye metoders ordning «Forenklet vurdering av PD-(L)1-legemidler»?</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p>
---	--

## 6 Sammenlignbarhet og anbud

<p>6.1 Finnes det andre legemidler med lignende virkningsmekanisme og /eller tilsvarende effekt til den aktuelle indikasjonen?</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Kommentar: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>6.2 Vurderer leverandør at legemiddelet i anmodningen er sammenlignbart med et eller flere andre legemidler som Nye metoder har besluttet å innføre til den samme indikasjonen?</p> <p><i>Hvis ja, hvilke(t)? Oppgi ID-nummer på metoden/metodene i Nye metoder</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Legemiddel og ID-nummer: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>6.3 Er det eksisterende anbud på terapiområdet som kan være aktuelt for legemiddelet?</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Kommentar: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

7 Nordisk samarbeid JNHB (Joint Nordic HTA-bodies)	
<p>7.1 Er anmodet indikasjon aktuell for utredning i det nordiske HTA-samarbeidet JNHB?</p> <p><i>Hvis nei, begrunn kort</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Begrunnelse: Tryngolza® is not a hospital medicine in Finland. Therefore, it is not suitable for a joint Nordic assessment. Sobi expects Tryngolza to be funded via hospital financing and decided by Beslutningsforum in Norway. Sobi would also assume that Tryngolza is seen as a “H-resept” product in Norway as patient self-administration at home is possible according to the SmPC</p>

8 Europeisk samarbeid om vurdering av relativ effekt og sikkerhet (HTAR)	
<p>8.1 Er anmodet legemiddel/indikasjon omfattet av regelverket for utredning av relativ effekt og sikkerhet i europeisk prosess (HTAR)?</p> <p><i>Hvis ja, fyll ut dato for søknad om MT til EMA</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Dato for søknad til EMA:</p> <p>Klikk eller trykk for å skrive inn en dato.</p>

9 Helseøkonomisk dokumentasjon og forslag til helseøkonomisk analyse	
<p>9.1 Hvilken type helseøkonomisk analyse foreslår leverandøren?</p> <p><i>F.eks. kostnad-per-QALY analyse eller kostnadsminimeringsanalyse.</i></p> <p><i>Begrunn forslaget</i></p>	<p>To assess the difference in cost and benefits between treatment with Tryngolza + SoC compared to no-addition to SoC, a cost per QALY analysis is suggested.</p>
<p>9.2 Pasientpopulasjonen som den helseøkonomiske analysen baseres på, herunder eventuelle undergrupper.</p>	<p>Adult patients with genetically confirmed familial chylomicronemia syndrome (FCS).</p>
<p>9.3 Hvilken dokumentasjon skal ligge til grunn? (H2H studie, ITC, konstruert komparatorarm etc.)</p> <p><i>Angi det som er relevant med tanke på hvilken type analyse som foreslås.</i></p>	<p>H2H study.</p>

<p>9.4 Forventet legemiddelbudsjett i det året med størst budsjettvirkning i de første fem år.</p>	<p>Not ready yet. A budget impact analysis is planned to be submitted in the complete application. However, the number of patients with FCS and therefore eligible for treatment with Tyrngolza® are expected to be low in Norway, around 4-9 patients, as stated in section 10.7.</p>
<p>9.5 Forventet tidspunkt (måned og år) for levering av dokumentasjon til Direktoratet for medisinske produkter og/eller Sykehusinnkjøp HF.</p> <p><i>Tidspunkt må oppgis</i></p>	<p>01/06/2026</p>

## 10 Sykdommen og eksisterende behandling

<p>10.1 Sykdomsbeskrivelse for aktuell indikasjon</p> <p><i>Kort beskrivelse av sykdommens patofysiologi og klinisk presentasjon / symptombilde, eventuelt inkl. referanser</i></p>	<p>FCS is a rare genetic disorder caused by loss of function mutations in the five canonical genes involved in lipoprotein lipase (LPL)-mediated lipolysis of chylomicrons resulting in the a reduced or complete absence of LPL activity [1]. This leads to severe elevation of circulating triglycerides (TGs) (<math>\geq 885</math> mg/dL or <math>\geq 10</math> mmol/L) and accumulation of chylomicrons in the plasma [2,3]. The accumulation of TGs and chylomicrons in the plasma can give rise to clinically significant manifestations, including an increased risk of acute pancreatitis (AP), chronic pancreatitis (CP), and mortality [4,5].</p> <p>References:</p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1. Moulin P, et al. Identification and diagnosis of patients with familial chylomicronaemia syndrome (FCS): Expert panel recommendations and proposal of an "FCS score". <i>Atherosclerosis</i>. 2018;275:265-272.</li> <li>2. Hegele RA, et al. Clinical and biochemical features of different molecular etiologies of familial chylomicronemia. <i>J Clin Lipidol</i>. 2018;12(4):920-927 e4.</li> <li>3. Blom DJ, et al. Characterizing familial chylomicronemia syndrome: Baseline data of the APPROACH study. <i>J Clin Lipidol</i>. 2018;12(5):1234-1243 e5.</li> <li>4. Gaudet, D., et al., Acute Pancreatitis is Highly Prevalent and Complications can be Fatal in Patients with Familial Chylomicronemia: Results From a Survey</li> </ol>
---	---

	<p>of Lipidologist, in National Lipid Association 2016, Journal of Clinical Lipidology. p. P680–681.</p> <p>5. Davidson M, et al. The burden of familial chylomicronemia syndrome: Results from the global IN-FOCUS study. J Clin Lipidol. 2018;12(4):898-907 e2.</p>
<p>10.2 Fagområde</p> <p><i>Angi hvilket fagområde som best beskriver metoden</i></p>	<p>Velg fagområde fra menyen:</p> <p>Endokrine sykdommer</p>
<p>10.3 Kreftområde</p> <p><i>Hvis metoden gjelder fagområdet Kreftsykdommer, angi hvilket kreftområde som er aktuelt</i></p>	<p>Velg kreftområde fra menyen:</p> <p>Velg et element.</p>
<p>10.4 Dagens behandling</p> <p><i>Nåværende standardbehandling i Norge, inkl. referanse</i></p>	<p>There are no national guidelines in Norway for the treatment of FCS. Lipid-lowering medicines have limited effect in these patients due to the pathophysiology of the disease. The recommendations are to have a healthy lifestyle and to follow an extremely restrictive low-fat diet. [1]</p> <p>International guidelines have been published by the European Society of Cardiology (ESC)/European Atherosclerosis Society (EAS) [2], and by the US National Lipid Association (NLA) [3]. The overlapping recommendations across these guidelines are the restriction of fat content (&lt;20 g fat or &lt;10–15% of daily caloric intake from fat) in the diet. ESC and EAS guidelines also recommend alcohol abstinence. Additionally, volanesorsen is mentioned in both guidelines and olezarsen is mentioned in the US NLA statement.</p> <p>References:</p> <p>1. Norwegian Medicines Agency (Statens legemiddelverk). Volanesorsen som tilleggsbehandling til diett ved familiær kylomikronemi. 2018. Available at: <a href="#">LM01818-Volanesorsen-som-tilleggsbehandling-til-diett-ved-familiar-kylomikronemi.pdf</a></p> <p>2. Mach, F., et al., 2019 ESC/EAS Guidelines for the management of dyslipidaemias: lipid modification to reduce cardiovascular risk. Eur Heart J, 2020. 41(1): p. 111–188.</p> <p>3. Javed, F., et al., Familial chylomicronemia syndrome: An expert clinical review from the National</p>

	Lipid Association. J Clin Lipidol, 2025. 19(3): p. 382–403.
<p>10.5 Prognose</p> <p><i>Beskriv prognosen med nåværende behandlingstilbud, inkl. referanse</i></p>	<p>FCS is a rare genetic disorder caused by mutations affecting lipoprotein lipase (LPL) activity that lead to extremely high TGs and chylomicron accumulation. Generally, patients with FCS experience acute and chronic symptoms that can be incapacitating and recurrent, spanning physical, cognitive, and emotional domains [1, 2].</p> <p>One of the most severe and life-threatening manifestations of FCS is acute pancreatitis (AP), which can contribute to substantial morbidity and mortality in patients [1-3]. In a global survey of lipidologists managing 251 patients with FCS, 67% of patients were reported to have experienced an episode of AP requiring hospitalization, with half of patients having experienced multiple hospitalizations for recurrent AP (ranging from 2–96 hospitalizations) and one-third having required intensive care [2].</p> <p>Recurrent AP can lead to long-term complications such as chronic pancreatitis (CP), pancreatic tissue damage, pancreatogenic (type 3c) diabetes, and pancreatic insufficiency [1-4]. AP is associated with increased mortality in patients with FCS. In the global survey of lipidologists mentioned above, the total pancreatitis-related mortality reported was 6.0% (n=15/251) [2].</p> <p>Beyond AP, patients with FCS also experience recurrent abdominal pain as well as other physical symptoms (e.g., gastrointestinal, dermatologic) [1]. Abdominal pain, though one of the primary signs of AP, can also occur in FCS not associated with AP [1, 5]. In the same global survey of lipidologists mentioned above, 57% of patients experienced recurrent abdominal pain, and nearly one-fifth (17%) experienced abdominal pain requiring hospitalization (not diagnosed as AP) [2].</p> <p>Patients with FCS can also experience frequent and severe cognitive impairment associated with their disease [1]. In the IN-FOCUS survey (a global burden of illness survey on FCS), patients with FCS reported multiple cognitive symptoms, including difficulty concentrating (16%), impaired judgment (11%), brain fog (8%), forgetfulness (8%), difficulty understanding what others are saying (5%), recent memory loss (5%), and difficulty hearing (4%) [1]. Notably, all cognitive</p>

	<p>symptoms were experienced either daily or multiple days per week by patients.</p> <p>Additionally, FCS exerts a substantial impact on patients' overall health-related quality of life (HRQoL), including emotional health and psychological well-being, ability to perform daily activities of living, and family life and personal relationships [1, 6].</p> <p>Finally, elevated TGs alone, without considering pancreatitis history, have also been shown to be associated with an increased risk for mortality [7-9].</p> <p>References:</p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1. Davidson, M., et al., The burden of familial chylomicronemia syndrome: Results from the global IN-FOCUS study. <i>J Clin Lipidol</i>, 2018. 12(4): p. 898–907 e2.</li> <li>2. Gaudet, D., et al., Acute Pancreatitis is Highly Prevalent and Complications can be Fatal in Patients with Familial Chylomicronemia: Results From a Survey of Lipidologist, in National Lipid Association 2016, <i>Journal of Clinical Lipidology</i>. p. P680–681.</li> <li>3. Belhassen, M., et al., 10-Year Comparative Follow-up of Familial versus Multifactorial Chylomicronemia Syndromes. <i>J Clin Endocrinol Metab</i>, 2021. 106(3): p. e1332–e1342.</li> <li>4. Sisman, G., et al., Familial chylomicronemia syndrome related chronic pancreatitis: a single-center study. <i>Hepatobiliary Pancreat Dis Int</i>, 2014. 13(2): p. 209–14.</li> <li>5. Davidson, D., et al., Development of a novel PRO instrument for use in familial chylomicronemia syndrome. <i>J Patient Rep Outcomes</i>, 2021. 5(1): p. 72.</li> <li>6. Williams, K., et al., Symptoms and impacts of familial chylomicronemia syndrome: a qualitative study of the patient experience. <i>Orphanet J Rare Dis</i>, 2023. 18(1): p. 316.</li> <li>7. Patel, R.S., et al., Elevated plasma triglyceride concentration and risk of adverse clinical outcomes in 1.5 million people: a CALIBER linked electronic health record study. <i>Cardiovasc Diabetol</i>, 2022. 21(1): p. 102.</li> <li>8. Arca, M., et al., Association of Hypertriglyceridemia with All-Cause Mortality and Atherosclerotic Cardiovascular Events in a Low-Risk Italian Population: The TG-REAL Retrospective Cohort Analysis. <i>J Am Heart Assoc</i>, 2020. 9(19): p. e015801.</li> <li>9. Vlachos, B., et al., Hypertriglyceridemia and its relationship with all-cause mortality and pancreatitis:</li> </ol>
--	---

	Results from a large retrospective clinical registry. J Clin Lipidol, 2025.
10.6 Det nye legemiddelets innplassering i behandlingsalgoritmen	<p>Tryngolza® is indicated as an adjunct to diet in adult patients for the treatment of genetically confirmed FCS. Since there are no other treatments currently available for this patient population in Norway, Tryngolza® is expected to be given as an addition to the dietary restrictions (low-fat diet) that these patients currently follow.</p> <p>Traditional triglyceride-reducing treatments such as fibrates and omega-3 have very modest efficacy in these patients. However, they were allowed in the pivotal Phase 3 study Balance. Patients are expected to continue receiving these treatments together with the low-fat diet.</p>
<p>10.7 Pasientgrunnlag</p> <p><i>Beskrivelse, insidens og prevalens av pasienter omfattet av aktuell indikasjon* i Norge, inkl. referanse.</i></p> <p><i>Antall norske pasienter antatt aktuelle for behandling med legemiddelet til denne indikasjonen.</i></p> <p><i>* Hele pasientgruppen som omfattes av aktuell indikasjon skal beskrives</i></p>	<p>FCS is a rare genetic disorder with limited epidemiology data available in Norway. Traditionally, global prevalence estimates in the literature for FCS are between approximately 8,000 and 16,000 patients globally, equating to approximately 1–2 in 1,000,000 individuals [1]. Considering a Norwegian adult population (<math>\geq 18</math> years old) of 4,486,121 people in 2025 [2], that would correspond to around 4 to 9 patients with FCS in Norway.</p> <p>References:  1. Brahm A, Hegele RA. Hypertriglyceridemia. Nutrients. Mar 22 2013;5(3):981-1001.  2. Statistics Norway. 12871: Population, by age, contents, year and gender. 2025.</p>

## 11 Studiekarakteristika for relevante kliniske studier

	Studie 1	Studie 2	Studie 3
11.1 Studie-ID	The Balance Study, NCT04568434, <a href="#">Study</a>	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

<p>Studienavn, NCT-nummer, hyperlenke</p>	<p><a href="#">Details   NCT04568434   A Study of Olezarsen (Formerly Known as AKCEA-APOCIII-LRx) Administered to Patients With Familial Chylomicronemia Syndrome (FCS)   ClinicalTrials.gov</a></p>		
<p>11.2 Studietype og -design</p>	<p>Phase 3, randomized, multicenter, double-blind, placebo-controlled study.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>11.3 Formål</p>	<p>To measure the efficacy and safety of olezarsen as compared with placebo in patients with FCS.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>11.4 Populasjon</p> <p><i>Viktige inklusjons- og eksklusjonskriterier</i></p>	<p>Adult patients with genetically confirmed familial chylomicronemia syndrome (FCS).</p> <p>Inclusion criteria consisted of patients ≥18 years of age with a genetically identified diagnosis of FCS (identified by loss of function variants [homozygote, compound heterozygote, or double heterozygote] in LPL or genes that affect LPL function), a fasting TG ≥880 mg/dL at sscreening, a history of pancreatitis within 10 years prior to screening</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

	(patients without a recorded history of pancreatitis, or no recorded history within 10 years prior to screening, were also eligible but their enrollment was capped at 35% of total patients), and a willingness to follow a diet comprising $\leq 20$ g fat/day during the study. The use of lipid-lowering medications was permitted.		
11.5 Intervensjon (n)  <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>	Olezarsen 50 mg or 80 mg administered via subcutaneous injection once every 4 weeks for 49 weeks of the 53-week treatment period, after which they underwent a 13-week post-treatment follow-up period. Alternative to the 13-week post-treatment follow-up period, patients could elect to enroll in the open-label extension (OLE) study (NCT05130450).	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.6 Komparator (n)  <i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i>	Matching placebo to olezarsen 50 mg or 80 mg administered via subcutaneous injection once every 4 weeks for 49 weeks of the 53-week treatment period, after which they underwent a 13-week post-treatment follow-up period. Alternative to the 13-week post-treatment	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

	<p>follow-up period, patients could elect to enroll in the open-label extension (OLE) study (NCT05130450).</p>		
<p>11.7 Endepunkter</p> <p><i>Primære, sekundære og eksplorative endepunkter, herunder definisjon, målemetode og ev. tidspunkt for måling</i></p>	<p>Primary endpoint:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>The mean percent change in fasting TG from baseline to Month 6 (defined as the average of Weeks 23, 25, and 27) for the olezarsen 80 mg group compared with placebo.</li> </ul> <p>Secondary endpoints:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>The percent change in fasting TG from baseline to Month 12 between olezarsen 80 mg group or olezarsen 50 mg group and pooled placebo.</li> <li>The percent change in fasting apoC-III from baseline to the primary analysis time point between olezarsen 80 mg group or olezarsen 50 mg group and pooled placebo.</li> <li>The percent change in fasting apoC-III from baseline to Month 12 between olezarsen 80 mg group or olezarsen</li> </ul>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

	<p>50 mg group and pooled placebo.</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• The proportion of patients who achieve <math>\geq 40\%</math> reduction in fasting TG from baseline to the primary analysis time point between olezarsen 80 mg group or olezarsen 50 mg group and pooled placebo.</li> <li>• The percent change in fasting apoB-48 from baseline to the primary analysis time point between olezarsen 80 mg group or olezarsen 50 mg group and pooled placebo.</li> <li>• The percent change in fasting non-HDL-C from baseline to the primary analysis time point between olezarsen 80 mg group or olezarsen 50 mg group and pooled placebo.</li> <li>• The adjudicated AP event rate from Week 1 to Week 53 between pooled olezarsen treatment group and pooled placebo for the Full Analysis Set, in the subset with a prior history of pancreatitis within 10 years prior to Screening, or in the subset with <math>\geq 2</math> events of</li> </ul>		
--	--	--	--

	<p>adjudicated AP in 5 years prior to enrollment.</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• The adjudicated acute pancreatitis (AP) event rate from Week 13 to Week 53 between pooled olezarsen treatment group and pooled placebo for the full analysis set, in the subset with a prior history of pancreatitis within 10 years prior to screening, or in the subset with <math>\geq 2</math> events of adjudicated AP in 5 years prior to enrollment.</li> <li>• The proportion of patients who achieve <math>\geq 70\%</math> reduction in fasting TG from baseline to the primary analysis time point between olezarsen 80 mg group or olezarsen 50 mg group and pooled placebo.</li> <li>• The percent change in fasting non-HDL-C from baseline to Month 12 between olezarsen 80 mg group or olezarsen 50 mg group and pooled placebo.</li> <li>• The percent change in fasting apoB-48 from baseline to Month 12 between olezarsen 80 mg</li> </ul>		
--	---	--	--

	<p>group or olezarsen 50 mg group and pooled placebo.</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• The proportion of patients who achieve fasting TG <math>\leq 880</math> mg/dL at the primary analysis time point between olezarsen 80 mg group or olezarsen 50 mg group and pooled placebo.</li> <li>• The proportion of patients who achieve fasting TG <math>\leq 500</math> mg/dL at the primary analysis time point between olezarsen 80 mg group or olezarsen 50 mg group and pooled placebo.</li> </ul>		
<p>11.8 Relevante subgruppeanalyser</p> <p><i>Beskrivelse av ev. subgruppeanalyser</i></p>	<p>The primary analysis was performed by treatment group: first in the olezarsen 80 mg group, then in the olezarsen 50 mg group.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>11.9 Oppfølgingstid</p>	<p>Patients were administered olezarsen</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

<p><i>Hvis pågående studie, angi oppfølgingstid for data som forventes å være tilgjengelige for vurderingen hos Direktoratet for medisinske produkter samt den forventede/planlagte samlede oppfølgingstid for studien</i></p>	<p>or placebo SC once every 4 weeks for 49 weeks of the 53-week treatment period, after which they underwent a 13-week post-treatment follow-up period.</p>		
<p>11.10 Tidsperspektiv resultater</p> <p><i>Pågående eller avsluttet studie? Tilgjengelige og fremtidige datakutt</i></p>	<p>Completed (2023).</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>11.11 Publikasjoner</p> <p><i>Tittel, forfatter, tidsskrift og årstall. Ev. forventet tidspunkt for publisering</i></p>	<p>Olezarsen, Acute Pancreatitis, and Familial Chylomicronemia Syndrome. Stroes ESG, Alexander VJ, Karwatowska-Prokopczuk E, et al. <i>N Engl J Med.</i> 2024</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

<h2>12 Igangsatte og planlagte studier</h2>	
<p>12.1 Er det pågående eller planlagte studier for legemiddelet innenfor samme indikasjon som kan gi ytterligere informasjon i fremtiden?</p> <p><i>Hvis ja, oppgi forventet tidspunkt</i></p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/>    Nei <input type="checkbox"/></p> <p>The ongoing phase 3 OLE study (an open-label extension study of the Balance study), NCT05130450; N=60, estimated study completion: Q1 2028.</p>
<p>12.2 Er det pågående eller planlagte studier for legemiddelet for andre indikasjoner?</p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/>    Nei <input type="checkbox"/></p>

	The ongoing phase 3 OLE study (open label extension study of the CORE 1 and CORE 2 studies) in adults with severe hypertriglyceridemia (sHTG), NCT05681351; N=800; estimated study completion: Q1 2027.
--	---

<b>13 Diagnostikk</b>	
13.1 Vil bruk av legemiddelet til anmodet indikasjon kreve diagnostisk test for analyse av biomarkør?  <i>Hvis ja, fyll ut de neste spørsmålene</i>	Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/>
13.2 Er testen etablert i klinisk praksis?  <i>Hvis ja, testes pasientene rutinemessig i dag?</i>	Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/>  Hvis ja, testes pasientene rutinemessig i dag?  Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/>
13.3 Hvis det er behov for en test som ikke er etablert i klinisk praksis, beskriv behovet inkludert antatte kostnader/ressursbruk	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

<b>14 Andre relevante opplysninger</b>	
14.1 Har dere vært i kontakt med fagpersoner (for eksempel klinikere) ved norske helseforetak om dette legemiddelet/indikasjonen?  <i>Hvis ja, hvem har dere vært i kontakt med og hva har de bidratt med?</i>  <i>(Relevant informasjon i forbindelse med rekruttering av fagekspert i Nye metoder)</i>	Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/>  Not yet, but we plan to establish contact with Norwegian clinical experts.
14.2 Anser leverandør at det kan være spesielle forhold ved dette legemiddelet som gjør at en innkjøpsavtale ikke kan basere seg på flat rabatt for at legemiddelet skal kunne oppfylle prioriteringskriteriene?  <i>Hvis ja, begrunn kort.</i>	Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/>  Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

<p><i>Hvis ja, skal eget skjema fylles ut og sendes til Sykehusinnkjøp HF samtidig med at dokumentasjon til metodevurdering sendes til Direktoratet for medisinske produkter.</i></p> <p><i>Nærmere informasjon og skjema:</i>  <a href="#">Informasjon og opplæring - Sykehusinnkjøp HF</a></p>	
<p>14.3 Andre relevante opplysninger?</p>	<p>We would appreciate a dialogue meeting with the DMP to discuss key topics prior to submission of our application:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- Agreement on submission date and timelines.</li> <li>- Structure of the health economic model.</li> </ul> <p>We look forward to coordinating with the DMP on these points to support a high-quality and efficient evaluation process.</p>

Informasjon om Nye metoder finnes på nettsiden [nyemetoder.no](http://nyemetoder.no)