



	<p>Hovedstudien som ligger til grunn for markedsføringstillatelsen er en randomisert, dobbeltblindet, placebokontrollert fase III-studie (NCT04568434). Studien inkluderte 66 pasienter, hvorav 23 pasienter ble randomisert til placebo, 21 pasienter til olezarsen 50 mg og 22 pasienter til olezarsen 80 mg (endelig godkjent dosering), subkutan injeksjon én gang i måneden (4). Utfallsmålene inkluderte måling av endringer i lipid- og apolipoproteinparametere og forekomsten av akutt pankreatitt (vurdert av en blindet, uavhengig komité). Effekteresultatene fra studien viste en statistisk signifikant reduksjon i fastende triglyseridnivå fra baseline til måned 6 hos pasienter behandlet med 80 mg olezarsen, men ikke med 50 mg olezarsen. Til tross for den statistisk signifikante forskjellen sammenlignet med placebo, ble den anbefalte opprettholdelsen av plasmanivåer av triglyserider under 500–1000 mg/dL ikke oppnådd i noen av olezarsen-gruppene ved måned 6 og måned 12 (4). Pankreatitt er den mest alvorlige komorbiditeten som følge av vedvarende høye triglyseridnivåer. Basert på resultatene fra den pivotale studien ble det rapportert en statistisk signifikant reduksjon i forekomsten av pankreatitt hos pasienter behandlet med 50 mg og 80 mg olezarsen (4).</p> <p>Et legemiddel for tilsvarende indikasjon er tidligere metodevarslet i Nye Metoder (<a href="#">ID2018_025 – Volensorsen (Waylivra)</a>). Dokumentasjon fra MT-innehaver ble imidlertid ikke levert, og fagdirektørene besluttet 12.02.2024 at legemiddelet ikke skulle benyttes.</p>
<b>Begrunnelse i forslag</b>	Anmoder foreslår å levere en kostnad-nytte-analyse, med dokumentasjon hentet fra pivotalstudien for olezarsen (NCT04568434).
<b>Preliminær PICO<sup>1</sup></b>	<p><b>P:</b> I tråd med godkjent indikasjon; supplement til diett hos voksne pasienter ved behandling av genetisk bekreftet FCS</p> <p><b>I:</b> Olezarsen brukt i tråd med anbefalt dosering i preparatomtale; 80 mg administrert ved subkutan injeksjon én gang i måneden.</p> <p><b>C:</b> Dagens standardbehandling; diett/diettrestriksjoner, statiner, omega-3 tilskudd, fibrater, og/eller andre lipidsenkende legemidler</p> <p><b>O:</b> Endring i triglyseridnivå, akutt pankreatitt, kronisk pankreatitt, diabetes, overlevelse, bivirkninger, helse relatert livskvalitet, ressursbruk.</p>
<b>Vurdering fra Direktoratet for medisinske produkter</b>	<p>Det foreligger data fra en randomisert, dobbeltblindet, placebokontrollert fase III-studie. Studien er imidlertid svært liten, som er forståelig gitt prevalensen av sykdommen. Primært endepunkt i studien var endring i triglyseridnivå, og sammenhengen mellom dette surrogatendepunktet og klinisk relevante utfall for pasientgruppen er usikker. EMA peker på at pankreatitt er den mest alvorlige følgeplagen av vedvarende høye triglyseridnivåer, og kliniske data på forekomst av pankreatitt foreligger fra studien.</p> <p>Anmoder foreslår å levere en kostnad-nytte-analyse. DMP vurderer at det trolig vil være behov for omfattende bruk av eksterne input-data for å utvikle en helseøkonomisk modell med klinisk relevante utfall i en livstidshorisont. Anmoder beskriver ikke hvilke utfallsmål de planlegger å modellere på.</p>

<sup>1</sup> Pasientpopulasjon, intervensjon, komparator og utfallsmål relevant for en eventuell metodevurdering

<b>Anbefaling fra Direktoratet for medisinske produkter (knyttet til metodevurdering)</b>	DMP mener det er nødvendig å vurdere om prioriteringskriteriene er oppfylt ved anmodet bruk. Det er usikkert hvorvidt det foreligger data som kan være egnet for en kostnad-nytte-analyse. DMP foreslår at det bestilles en metodevurdering med en helseøkonomisk analyse (kostnad-nytte analyse), og at leverandør oppfordres til et formøte med DMP, slik at det kan vurderes om det foreligger tilstrekkelig data for en slik analyse.
---	---

**Kilder:**

1. Legemiddelsøk, DMP. [Legemiddelvisning - Direktoratet for medisinske produkter](#)
2. Preparatomtale, Tryngolza. [Tryngolza, INN-Olezarsen](#)
3. Endocrine Society, FCS. [Familial Chylomicronemia Syndrome \(FCS\) | Endocrine Society](#)
4. EMA, Assessment report (EPAR) – Tryngolza. [Tryngolza, INN-olezarsen](#)

<b>Versjonslogg*</b>	
<b>Dato</b>	<b>Hva</b>
05.05.2026	Egnethetsvurdering ferdigstilt hos DMP
<p>*Egnethetsvurderinger oppdateres ikke regelmessig. Det kan tilkomme endringer i regulatorisk status og godkjent indikasjonsordlyd. For informasjon om endringer, se <a href="#">Legemiddelsøk.no</a>. Velg «endre dine søkeinnstillinger» for å inkludere ikke markedsførte legemidler.</p>	