



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/68210/2022  
EMA/H/C/005208

## Ayvakyt (*avapritinib*)

Oversigt over Ayvakyt, og hvorfor det er godkendt i EU

### Hvad er Ayvakyt, og hvad anvendes det til?

Ayvakyt er et kræftlægemiddel, der bruges til at behandle gastrointestinal stromal tumor (GIST), dvs. en type kræft i mave-tarmsystemet, der ikke kan fjernes kirurgisk og har spredt sig til andre dele af kroppen. Ayvakyt anvendes, når kræftcellerne har en D842V-mutation, som er en ændring i genet for trombocyt afledt vækstfaktorreceptor-alfa (PDGFRA).

Ayvakyt anvendes også til voksne med fremskreden systemisk mastocytose, lidelser i en type hvide blodlegemer, som kaldes mastceller: aggressiv systemisk mastocytose, systemisk mastocytose forbundet med hæmatologiske neoplasmer (blodkræft) eller mastcelleleukæmi. Det anvendes, efter at patienten har fået mindst én systemisk behandling (behandling med lægemidler, der påvirker hele kroppen).

Disse sygdomme er sjældne, og Ayvakyt blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den [17. juli 2017](#) (GIST) og den [26. oktober 2018](#) (mastocytose).

Ayvakyt indeholder det aktive stof avapritinib.

### Hvordan anvendes Ayvakyt?

Ayvakyt fås som tabletter, der tages gennem munden, og det fås kun på recept. Behandlingen bør indledes og overvåges af en speciallæge, der har erfaring med behandling af kræft.

Ayvakyt bør tages på tom mave. Den anbefalede dosis er 300 mg én gang dagligt for GIST og 200 mg én gang dagligt for avanceret systemisk mastocytose. Dosen skal muligvis nedsættes, hvis patienten tager andre lægemidler kaldet "CYP3A-hæmmere", som kan påvirke den måde, Ayvakyt nedbrydes i kroppen på. Hvis patienten får visse bivirkninger, kan behandlingen afbrydes, standses eller dosis sættes ned.

Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Ayvakyt, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

### Hvordan virker Ayvakyt?

Ayvakyt tilhører en gruppe kræftlægemidler kaldet receptor-tyrosinkinasehæmmere. Det virker ved at blokere aktiviteten hos receptorer (mål) kaldet PDGFRA på overfladen af GIST- eller mastceller. Disse

**Official address** Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

**Address for visits and deliveries** Refer to [www.ema.europa.eu/how-to-find-us](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



receptorer er med til at kontrollere cellevæksten og kan være unormale (muterede) i GIST- og mastceller, så cellerne deler sig ukontrolleret. Ved at blokere virkningen af den unormale receptor forventes lægemidlet at medvirke til at bremse væksten af disse celler.

## **Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Ayvakyt?**

### **GIST**

Ayvakyt viste fordele i ét hovedstudie med 38 patienter med GIST, hvor kræftcellerne havde D842V-PDGFR-mutationen. I det studie, hvor Ayvakyt ikke blev sammenlignet med andre lægemidler, virkede behandlingen på sygdommen hos 95 % af patienterne (36 ud af 38), og der gik i gennemsnit 22 måneder, før kræften blev værre hos de behandlede patienter.

### **Fremskreden systemisk mastocytose**

Ved fremskreden systemisk mastocytose viste et igangværende hovedstudie en fordel ved Ayvakyt: Ud af 47 patienter med fremskreden systemisk mastocytose, der tidligere havde fået systemisk behandling, responderede 28 (60 %) på behandling med Ayvakyt. Selv om patienterne er blevet fulgt i en begrænset periode, forventes responsen at vare i gennemsnit mindst 12 måneder.

## **Hvilke risici er der forbundet med Ayvakyt?**

De hyppigste bivirkninger hos patienter med GIST (som optræder hos mere end 20 ud af 100 personer) er kvalme, træthed, anæmi (lavt antal røde blodlegemer), periorbitalt, ansigts- eller perifert ødem (hævelse i øjne, ansigt, ankler eller fødder), hyperbilirubinæmi (forhøjet indhold i blodet af bilirubin, hvilket er tegn på leverproblemer), diarré, opkastning, øget tåreproduktion, nedsat appetit og hukommelsesbesvær (glemsomhed).

De hyppigste alvorlige bivirkninger ved Ayvakyt hos patienter med GIST (som kan forekomme hos op til 6 ud af 100 personer) er anæmi og pleuraekssudat (væskeansamling ved lungerne).

Hos patienter med fremskreden systemisk mastocytose er de hyppigste bivirkninger (som optræder hos mere end 20 ud af 100 patienter) periorbitalt og perifert ødem, trombocytopeni (lavt antal blodplader) og anæmi.

De hyppigste alvorlige bivirkninger (som kan forekomme hos op til 2 ud af 100 personer) er subduralt hæmatom (blodansamling mellem kraniet og hjerneoverfladen), anæmi og blødning.

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Ayvakyt fremgår af indlægssedlen.

## **Hvorfor er Ayvakyt godkendt i EU?**

Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede, at fordelene ved Ayvakyt opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Ayvakyt var til gavn for en stor andel af patienterne med GIST med en D842V-PDGFR-mutation i en væsentlig periode. Tilsvarende resultater er ikke tidligere set, og de er bedre end dem, der er beskrevet i litteraturen for andre lægemidler af samme type hos denne patientpopulation, som ikke har mange behandlingsmuligheder. Selv om der også var væsentlige bivirkninger ved Ayvakyt, svarede disse for det meste til bivirkningerne ved andre lægemidler af samme type og blev anset for at kunne håndteres.

Ved fremskreden systemisk mastocytose, hvor behandlingsmulighederne også er begrænsede, var fordelene lovende og klinisk betydningsfulde, mens den overordnede sikkerhedsprofil synes at svare til sikkerhedsprofilen for GIST.

Ayvakyt har fået en "betinget godkendelse". Det betyder, at der er flere videnskabelige beviser på vej om lægemidlet, som virksomheden skal fremlægge. Hvert år gennemgår agenturet alle nye oplysninger, der måtte foreligge, og ajourfører om nødvendigt denne oversigt.

### **Hvilke oplysninger afventes der stadig for Ayvakyt?**

Da Ayvakyt har fået en betinget godkendelse, skal virksomheden, der markedsfører Ayvakyt, fremlægge yderligere resultater om lægemidlets sikkerhed og virkning fra to igangværende studier af GIST, og skal desuden gennemføre et studie af lægemidlet anvendt hos patienter med GIST i det virkelige liv.

### **Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Ayvakyt?**

Der er anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Ayvakyt.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende brugen af Ayvakyt løbende overvåget. De indberettede bivirkninger ved Ayvakyt vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

### **Andre oplysninger om Ayvakyt**

Ayvakyt fik en betinget markedsføringstilladelse med gyldighed i hele EU den 24. september 2020.

Further information on Ayvakyt can be found on the Agency's website:

[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/ayvakyt](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/ayvakyt).

Denne oversigt blev sidst ajourført i 02-2022.