



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ayvakyat (*avapritinibi*)

Yleistiedot Ayvakyat-valmisteesta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Ayvakyat on ja mihin sitä käytetään?

Ayvakyat on syöpälääke, jolla hoidetaan gastrointestinaalista stroomakasvainta (ruuansulatuskanavan tukikudoksen kasvain, GIST). Se on maha-suolikanavan syöpä, jota ei voida poistaa kirurgisesti ja joka on levinnyt kehon muihin osiin. Ayvakyat-valmistetta käytetään, kun syöpäsoluissa on verihitaleperäisen kasvutekijäreseptori alfan (PDGFRA) geenimutaatio D842V.

Ayvakyat-valmistetta annetaan myös aikuisille, joilla on pitkälle edennyt systeeminen mastosytoosi eli jokin seuraavista syöttösolujen (valkosoluja) sairauksista: aggressiivinen systeeminen mastosytoosi, systeeminen mastosytoosi, johon liittyy hematologinen neoplasma (verisyöpä), tai syöttösoluleukemia. Valmistetta käytetään sen jälkeen, kun potilas on saanut vähintään yhtä systeemistä hoitoa (koko elimistöön vaikuttavaa lääkehoitoa).

Nämä sairaudet ovat harvinaisia, ja Ayvakyat nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) [17. heinäkuuta 2017](#) (GIST) ja [26. lokakuuta 2018](#) (mastosytoosi).

Ayvakyatin vaikuttava aine on avapritinibi.

Miten Ayvakyat-valmistetta käytetään?

Ayvakyat on reseptilääke, ja sitä saa suun kautta otettavina tabletteina. Hoidon aloittavan ja sitä valvovan lääkärin on oltava perehtynyt syöpälääkkeiden käyttöön.

Ayvakyat otetaan tyhjiin mahaan. GIST:n hoidossa suositeltu annos on 300 mg kerran vuorokaudessa ja pitkälle edenneen systeemisen mastosytoosin hoidossa 200 mg kerran vuorokaudessa. Annosta voi olla tarpeen pienentää, jos potilas käyttää muita CYP3A:n estäjiä kutsuttuja lääkkeitä, jotka voivat häiritä Ayvakyatin hajoamista elimistössä. Hoito voidaan keskeyttää, lopettaa tai annostusta pienentää, jos potilaalle ilmaantuu tiettyjä haittavaikutuksia.

Lisätietoja Ayvakyatin käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Ayvakyat vaikuttaa?

Ayvakyat on reseptorityrosiinikinaasin estäjien ryhmään kuuluva lääke. Se vaikuttaa estämällä PDGFRA-nimisten reseptoreiden toimintaa GIST-kasvaimen tai syöttösolujen pinnalla. Nämä reseptorit auttavat hallitsemaan solujen kasvua. GIST-kasvaimessa ja syöttösoluissa ne voivat olla poikkeavia

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

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

An agency of the European Union



(mutatoituneita) ja aiheuttaa siten solujen hallitsematonta lisääntymistä. Estämällä poikkeavien reseptorien toiminnan lääkkeen odotetaan hidastavan näiden solujen kasvua.

Mitä hyötyä Ayvakyt-valmisteesta on havaittu tutkimuksissa?

GIST

Ayvakyt osoittautui hyödylliseksi yhdessä päätutkimuksessa, johon osallistuneiden 38 GIST-potilaan syöpäsoluissa oli PDGFRA:n mutaatio D842V. Tutkimuksessa, jossa Ayvakyt-valmistetta ei verrattu mihinkään muuhun lääkevalmisteeseen, hoitovaste saavutettiin 95 prosentilla potilaista (36 potilaalla 38:sta), ja aikaa siihen, kun hoidettujen potilaiden syöpä paheni, kului keskimäärin 22 kuukautta.

Pitkälle edennyt systeeminen mastosytoosi

Pitkälle edenneen systeemisen mastosytoosin osalta Ayvakyt-valmisteesta havaittiin olevan hyötyä yhdessä meneillään olevassa päätutkimuksessa. Tutkimukseen osallistui 47 potilasta, joilla on pitkälle edennyt systeeminen mastosytoosi ja jotka ovat saaneet siihen aiemmin systeemistä hoitoa. Heistä 28:lla (60 prosentilla) saavutettiin hoitovaste Ayvakytilla. Vaikka potilaita on seurattu rajoitetun ajan, hoitovasteen odotetaan kestävän keskimäärin vähintään 12 kuukautta.

Mitä riskejä Ayvakyt-valmisteeseen liittyy?

GIST-potilailla lääkevalmisteen yleisimpiä haittavaikutuksia (joita voi aiheutua useammalle kuin 20 potilaalle 100:sta) ovat pahoinvointi (huonovointisuus), väsymys, anemia (veren punasolujen alhainen määrä), periorbitaalinen turvotus, kasvojen turvotus tai perifeerinen ödeema (silmäluomien, kasvojen, nilkkojen tai jalkaterien turvotus), hyperbilirubinemia (kohonnut veren bilirubiinipitoisuus, mikä on merkki maksaongelmista), ripuli, oksentelu, lisääntynyt kyynelten erittyminen (silmien vetisyys), heikentynyt ruokahalu ja muistin huononeminen (unohtelu).

GIST-potilailla Ayvakytin yleisimmät vakavat haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua enintään kuudelle potilaalle sadasta) ovat anemia ja pleuraeffuusio (nesteen kertyminen keuhkoihin).

Potilailla, joilla on pitkälle edennyt systeeminen mastosytoosi, yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin 20 potilaalle sadasta) ovat periorbitaalinen ja perifeerinen ödeema, trombosytopenia (verihiutaleiden niukkuus) ja anemia.

Yleisimmät vakavat haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua enintään kahdelle potilaalle sadasta) ovat subduraalihakematooma (veren kerääntyminen kallon ja aivojen pinnan väliin), anemia ja verenvuoto.

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Ayvakytin haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Miksi Ayvakyt on hyväksytty EU:ssa?

Euroopan lääkevirasto katsoi, että Ayvakytin hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Ayvakyt-valmisteesta on hyötyä merkitsevän pitkään suurelle osalle GIST-potilaista, joiden syöpäsoluissa on PDGFRA:n mutaatio D842V. Aikaisemmin ei ole saatu vastaavia tuloksia, ja ne ovat kirjallisuuden mukaan paremmat kuin tulokset muista samantyyppisistä lääkkeistä tässä potilasryhmässä, jonka hoitovaihtoehdot ovat vähäiset. Vaikka Ayvakyt-valmisteella on myös merkittäviä haittavaikutuksia, ne vastaavat enimmäkseen muiden samantyyppisten lääkkeiden haittavaikutuksia ja niitä pidettiin hallittavina.

Pitkälle edenneen systeemisen mastosytoosin hoidossa, jossa hoitovaihtoehtoja on rajallisesti, valmisteen hyödyt olivat lupaavia ja kliinisesti merkittäviä ja sen yleinen turvallisuusprofiili vaikuttaa olevan yhdenmukainen GIST:n hoidossa todetun yleisen turvallisuusprofiilin kanssa.

Ayvakytille annettiin ns. ehdollinen myyntilupa. Tämä tarkoittaa sitä, että siitä on tulossa lisää näyttöä, jonka yhtiö on velvollinen toimittamaan. Euroopan lääkevirasto tarkastaa vuosittain mahdollisesti saataville tulevat uudet tiedot, ja tätä katsausta päivitetään tarvittaessa.

Mitä tietoja Ayvakytista odotetaan vielä saatavan?

Koska Ayvakytille on myönnetty ehdollinen myyntilupa, sitä markkinoiva lääkeyhtiö toimittaa lisätietoja sen turvallisuutta ja tehoa koskevista tuloksista, joita saadaan kahdesta meneillään olevasta GIST-tutkimuksesta. Yhtiö tekee myös tutkimuksen, jossa lääkevalmiste on tosiasiallisessa potilaskäytössä GIST-potilailla.

Miten voidaan varmistaa Ayvakytin turvallinen ja tehokas käyttö?

Suositukset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Ayvakytin käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Ayvakytin käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Ayvakytista ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Ayvakytista

Ayvakyt sai koko EU:n alueella voimassa olevan ehdollisen myyntiluvan 24. syyskuuta 2020.

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

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/ayvakyt.

Tämä yhteenveto on päivitetty viimeksi 02-2022.