



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ayvakyt (*avapritinib*)

Aperçu d'Ayvakyt et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

Qu'est-ce qu'Ayvakyt et dans quel cas est-il utilisé?

Ayvakyt est un médicament anticancéreux utilisé dans le traitement de tumeurs stromales gastro-intestinales (GIST), un cancer de l'estomac et de l'intestin, qui ne peut pas être éliminé chirurgicalement et qui s'est propagé à d'autres parties du corps. Ayvakyt est utilisé lorsque les cellules cancéreuses présentent une mutation D842V, une modification du gène du récepteur alpha du facteur de croissance dérivé des plaquettes (PDGFRA).

Ayvakyt est également utilisé chez les adultes atteints de mastocytose systémique avancée, ce qui signifie l'une des affections suivantes d'un type de globules blancs appelés mastocytes: mastocytose systémique agressive, mastocytose systémique associée à un néoplasme hématologique (cancer du sang) ou leucémie à mastocytes. Il est utilisé après que le patient a reçu au moins un traitement systémique (traitement par des médicaments affectant l'ensemble du corps).

Ces maladies sont rares et Ayvakyt a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares), le [17 juillet 2017](#) (GIST) et le [26 octobre 2018](#) (mastocytose).

Ayvakyt contient la substance active avapritinib.

Comment Ayvakyt est-il utilisé?

Ayvakyt est disponible sous forme de comprimés à administrer par voie orale et n'est délivré que sur ordonnance. Le traitement doit être instauré et surveillé par un médecin spécialiste expérimenté dans l'utilisation de traitements anticancéreux.

Ayvakyt doit être pris à jeun. La dose recommandée est de 300 mg une fois par jour pour les GIST et de 200 mg une fois par jour pour la mastocytose systémique avancée. Il peut être nécessaire de réduire la dose si le patient prend d'autres médicaments appelés «inhibiteurs du CYP3A» qui pourraient interférer avec la manière dont Ayvakyt est dégradé dans l'organisme. Le traitement peut être interrompu ou arrêté, ou la dose réduite, si le patient manifeste certains effets indésirables.

Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation d'Ayvakyt, voir la notice ou contacter votre médecin ou pharmacien.

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



Comment Ayvakyt agit-il?

Ayvakyt fait partie d'un groupe de médicaments appelés inhibiteurs de la tyrosine kinase. Il agit en bloquant l'activité de récepteurs (cibles), appelés PDGFRA, à la surface des GIST ou des mastocytes. Ces récepteurs permettent de contrôler la croissance cellulaire et peuvent être anormaux (avoir muté) dans les GIST et les mastocytes, provoquant ainsi la multiplication incontrôlée de ces cellules. En bloquant l'action du récepteur anormal, le médicament est censé contribuer à ralentir la croissance de ces cellules.

Quels sont les bénéfices d'Ayvakyt démontrés au cours des études?

GIST

Ayvakyt s'est révélé bénéfique dans le cadre d'une étude principale portant sur 38 patients atteints de GIST chez lesquels les cellules cancéreuses étaient porteuses de la mutation D842V de PDGFRA. Dans l'étude, au cours de laquelle Ayvakyt n'a été comparé à aucun autre médicament, la maladie a répondu au traitement chez 95 % des patients (36 sur 38) et il s'est écoulé en moyenne 22 mois avant que le cancer ne s'aggrave chez les patients traités.

Mastocytose systémique avancée

Pour la mastocytose systémique avancée, Ayvakyt a montré un bénéfice dans une étude principale en cours: sur 47 patients atteints de mastocytose systémique avancée ayant reçu un traitement systémique antérieur, 28 (60 %) ont répondu au traitement par Ayvakyt. Bien que les patients aient été suivis pendant une période limitée, la réponse devrait durer en moyenne au moins 12 mois.

Quels sont les risques associés à l'utilisation d'Ayvakyt?

Chez les patients atteints de GIST, les effets indésirables les plus couramment observés sous Ayvakyt (qui touchent plus de 20 personnes sur 100) sont les suivants: nausées (sensation de malaise), fatigue, anémie (faible nombre de globules rouges), œdème périorbitaire, facial ou périphérique (gonflement des yeux, du visage, des chevilles ou des pieds), hyperbilirubinémie (taux élevés de bilirubine dans le sang indiquant des problèmes de foie), diarrhées, vomissements, augmentation de la sécrétion lacrymale (larmolement), perte d'appétit et troubles de la mémoire (oublis).

Les effets indésirables graves les plus couramment observés sous Ayvakyt chez les patients atteints de GIST (qui peuvent toucher jusqu'à 6 personnes sur 100) sont l'anémie et l'épanchement pleural (liquide autour des poumons).

Chez les patients atteints de mastocytose systémique avancée, les effets indésirables les plus couramment observés (qui touchent plus de 20 personnes sur 100) sont les suivants: œdème périorbitaire et périphérique, thrombocytopénie (faible taux de plaquettes) et anémie.

Les effets indésirables graves les plus couramment observés (qui peuvent toucher jusqu'à 2 personnes sur 100) sont les suivants: hématome sous-dural (accumulation de sang entre le crâne et la surface du cerveau), anémie et hémorragies.

Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions associés à Ayvakyt, voir la notice.

Pourquoi Ayvakyt est-il autorisé dans l'UE?

L'Agence européenne des médicaments a estimé que les bénéfices d'Ayvakyt sont supérieurs à ses risques et a autorisé l'utilisation de ce médicament au sein de l'UE.

Ayvakyt s'est révélé bénéfique, pendant une période significative, auprès d'une proportion élevée de patients atteints de GIST présentant une mutation D842V de PDGFRA. Des résultats similaires n'ont pas été observés auparavant et les résultats sont meilleurs que ceux rapportés dans la littérature pour d'autres médicaments du même type concernant cette population de patients, qui ne disposent pas de beaucoup d'options de traitement. Bien qu'Ayvakyt ait également engendré des effets indésirables importants, ceux-ci étaient pour la plupart similaires à ceux d'autres médicaments du même type et ont été considérés comme gérables.

Pour la mastocytose systémique avancée, pour laquelle les options de traitement sont également limitées, les bénéfices étaient prometteurs et cliniquement significatifs, tandis que le profil de sécurité global semble cohérent avec celui observé pour les GIST.

Une «autorisation conditionnelle» a été délivrée pour Ayvakyt. Cela signifie que des preuves supplémentaires, à fournir par la société, sont attendues pour ce médicament. Chaque année, l'Agence examinera toute nouvelle information disponible et, le cas échéant, procédera à la mise à jour du présent aperçu.

Quelles informations sont encore en attente au sujet d'Ayvakyt?

Une autorisation conditionnelle ayant été délivrée pour Ayvakyt, la société qui commercialise Ayvakyt fournira des résultats supplémentaires sur la sécurité et l'efficacité du médicament à partir de deux études en cours sur les GIST, et effectuera également une étude du médicament tel qu'il est utilisé par les patients atteints de GIST dans le cadre de la vie réelle.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace d'Ayvakyt?

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace d'Ayvakyt ont été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation d'Ayvakyt sont surveillées en permanence. Les effets indésirables rapportés avec Ayvakyt sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

Autres informations relatives à Ayvakyt:

Une autorisation de mise sur le marché conditionnelle valide dans toute l'UE a été délivrée pour Ayvakyt, le 24 septembre 2020.

Further information on Ayvakyt can be found on the Agency's website:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/ayvakyt.

Dernière mise à jour du présent aperçu: 02-2022.