



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ayvakyt (*avapritinib*)

Um resumo sobre Ayvakyt e porque está autorizado na UE

O que é Ayvakyt e para que é utilizado?

Ayvakyt é um medicamento contra o cancro utilizado para tratar tumores do estroma gastrointestinal (GIST), um cancro do estômago e do intestino, que não é operável e que se espalhou para outras partes do organismo. Ayvakyt é utilizado quando as células cancerosas apresentam a mutação D842V, uma alteração no gene para o recetor do fator de crescimento derivado de plaquetas alfa (PDGFRA).

Ayvakyt é também utilizado em adultos com mastocitose sistémica avançada, o que significa qualquer uma das seguintes doenças de um tipo de glóbulos brancos conhecidos como mastócitos: mastocitose sistémica agressiva, mastocitose sistémica associada a uma neoplasia hematológica (cancro do sangue) ou leucemia de mastócitos. É utilizado após o doente ter recebido, pelo menos, um tratamento sistémico (tratamento com medicamentos que afetam todo o organismo).

Estas doenças são raras, e Ayvakyt foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) a [17 de julho de 2017](#) (GIST) e a [26 de outubro de 2018](#) (mastocitose).

Ayvakyt contém a substância ativa avapritinib.

Como se utiliza Ayvakyt?

Ayvakyt está disponível na forma de comprimidos para tomar por via oral e só pode ser obtido mediante receita médica. O tratamento deve ser iniciado e supervisionado por um médico especialista com experiência na utilização de tratamentos contra o cancro.

Ayvakyt deve ser tomado com o estômago vazio. A dose recomendada é de 300 mg uma vez por dia para o GIST e de 200 mg uma vez por dia para a mastocitose sistémica avançada. Pode ser necessário reduzir a dose se o doente estiver a tomar outros medicamentos chamados inibidores da CYP3A, que podem interferir com a forma como Ayvakyt é degradado no organismo. O tratamento pode ser interrompido, cessado ou a dose reduzida se o doente apresentar determinados efeitos secundários.

Para mais informações sobre a utilização de Ayvakyt, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

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



Como funciona Ayvakyt?

Ayvakyt pertence a um grupo de medicamentos designados inibidores do recetor da tirosina quinase. O seu modo de funcionamento consiste em bloquear a atividade dos recetores (alvos) denominados PDGFRA na superfície do GIST ou dos mastócitos. Estes recetores ajudam a controlar o crescimento celular e podem ser anormais (com mutações) no GIST e nos mastócitos, fazendo com que as células se multipliquem incontrolavelmente. Ao bloquear a ação do recetor anormal, espera-se que o medicamento ajude a abrandar o crescimento destas células.

Quais os benefícios demonstrados por Ayvakyt durante os estudos?

GIST

Ayvakyt demonstrou benefícios num estudo principal que incluiu 38 doentes com GIST nos quais as células cancerosas apresentavam a mutação D842V PDGFRA. No estudo, no qual Ayvakyt não foi comparado com nenhum outro medicamento, a doença respondeu ao tratamento em 95 % dos doentes (36 em 38) e decorreram, em média, 22 meses até à progressão do cancro nos doentes tratados.

Mastocitose sistémica avançada

Para a mastocitose sistémica avançada, Ayvakyt demonstrou benefícios num estudo principal em curso: dos 47 doentes com mastocitose sistémica avançada que receberam terapia sistémica anterior, 28 (60 %) responderam ao tratamento com Ayvakyt. Embora os doentes tenham sido acompanhados durante um período limitado, prevê-se que a resposta tenha uma duração média de, pelo menos, 12 meses.

Quais são os riscos associados a Ayvakyt?

Em doentes com GIST, os efeitos secundários mais frequentes associados a Ayvakyt (que afetam mais de 20 em cada 100 pessoas) são náuseas (sensação de enjojo), cansaço, anemia (contagens baixas de glóbulos vermelhos), edema periorbital, facial ou periférico (inchaço dos olhos, do rosto, dos tornozelos ou dos pés), hiperbilirrubinemia (níveis elevados de bilirrubina no sangue indicativos de problemas no fígado), diarreia, vómitos, aumento da lacrimação (lágrimas nos olhos), diminuição do apetite e perda de memória (esquecimentos).

Os efeitos secundários graves mais frequentes associados a Ayvakyt em doentes com GIST (que podem afetar 6 em cada 100 pessoas) são anemia e derrame pleural (líquido que envolve os pulmões).

Em doentes com mastocitose sistémica avançada, os efeitos secundários mais frequentes (que afetam mais de 20 em cada 100 pessoas) são edema periorbital e periférico, trombocitopenia (contagens baixas de plaquetas no sangue) e anemia.

Os efeitos secundários graves mais frequentes (que podem afetar 2 em cada 100 pessoas) são hematoma subdural (acumulação de sangue entre o crânio e a superfície do cérebro), anemia e hemorragia.

Para a lista completa de restrições de utilização e de efeitos secundários comunicados relativamente a Ayvakyt, consulte o Folheto Informativo.

Porque está Ayvakyt autorizado na UE?

A Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Ayvakyt são superiores aos seus riscos e o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE.

Ayvakyt mostrou benefícios para uma elevada percentagem de doentes com GIST com uma mutação D842V PDGFRA durante um período de tempo significativo. Estes resultados nunca tinham sido observados e são melhores do que os relatados na literatura para outros medicamentos do mesmo tipo nesta população de doentes, que não dispõe de muitas opções de tratamento. Apesar de Ayvakyt também ter efeitos secundários substanciais, estes foram essencialmente semelhantes aos de outros medicamentos do mesmo tipo e foram considerados controláveis.

Para a mastocitose sistémica avançada, em que as opções de tratamento também são limitadas, os benefícios foram promissores e clinicamente significativos, enquanto o perfil de segurança global parece ser consistente com o observado para o GIST.

Foi concedida a Ayvakyt uma autorização condicional. Isto significa que se aguardam dados adicionais sobre este medicamento, que a empresa está obrigada a fornecer. A Agência procederá, anualmente, à análise de novas informações disponíveis e, se necessário, à atualização do presente resumo.

Que informação ainda se aguarda sobre Ayvakyt?

Dado que foi concedida uma autorização condicional a Ayvakyt, a empresa que comercializa Ayvakyt fornecerá resultados adicionais sobre a segurança e a eficácia do medicamento com base em 2 estudos em curso em doentes com GIST e, além disso, realizará um estudo da utilização do medicamento por doentes com GIST num contexto real.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Ayvakyt?

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Ayvakyt.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Ayvakyt são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Ayvakyt são cuidadosamente avaliados e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger os doentes.

Outras informações sobre Ayvakyt

A 24 de setembro de 2020, Ayvakyt recebeu uma Autorização de Introdução no Mercado condicional, válida para toda a UE.

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

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

Este resumo foi atualizado pela última vez em 02-2022.