

Blueprint Medicines erhält EU-Zulassung für AYWAKYT® (Avapritinib) als erste und einzige zugelassene Behandlung für die Indolente systemische Mastozytose (ISM).

- In der Europäischen Union steht Patienten mit Indolenter systemischer Mastozytose (ISM) mit AYWAKYT® nun die erste und einzige zugelassene zielgerichtete Therapie zur Verfügung.
- Die Zulassung basiert auf Daten der PIONEER-Studie, in der mit AYWAKYT® signifikante Verbesserungen des primären Endpunktes und sekundärer Endpunkte erzielt wurden.¹
- AYWAKYT® ist in Deutschland bereits für die Indikationen Inoperabler oder metastasierter gastrointestinaler Stromatumor (GIST) mit PDGFRA-D842V-Mutation und Fortgeschrittene systemische Mastozytose (AdvSM) nach zumindest einer systemischen Therapie, zugelassen.

Blueprint Medicines (Germany) GmbH gab am 12.12.2023 bekannt, dass die Europäische Kommission AYWAKYT® (Avapritinib) zur Behandlung erwachsener Patienten mit Indolenter systemischer Mastozytose (ISM) mit mittelschweren bis schweren Symptomen, bei denen mit einer symptomatischen Behandlung keine ausreichende Kontrolle erzielt werden kann, zugelassen hat. AYWAKYT® ist die erste und einzige zugelassene Therapie für Patienten mit ISM in Europa. In Deutschland leben im zugelassenen Anwendungsgebiet schätzungsweise 714-999 gesetzlich krankenversicherte Personen mit dieser Erkrankung.²

"Diese wichtige Zulassung durch die Europäische Kommission ebnet den Weg für unsere Gespräche mit Erstattungsbehörden in Deutschland, um den Zugang zu AYWAKYT® als neue Behandlungsoption für Menschen mit Indolenter SM zu sichern", sagte Georg Pirmin Meyer, SVP, General Manager International & General Manager Germany. "Fortschritte in der Behandlung und im Management von ISM sind dringend erforderlich. Wir sind sehr dankbar für die anhaltende Partnerschaft und Zusammenarbeit mit Patientenorganisationen und medizinischen Experten, die sich für die Verbesserung der Behandlung von ISM in Deutschland einsetzen."

Die systemische Mastozytose (SM) ist eine seltene hämatologische Erkrankung, die zu einer Reihe von beeinträchtigenden Symptomen mit erheblichen Auswirkungen auf die Lebensqualität der Patienten führen kann. Die KIT D816V ist die häufigste Treibermutation bei der systemischen Mastozytose. Mit AYWAKYT® steht zur Behandlung der ISM nun die erste zielgerichtete Therapie zur Verfügung.

Die Zulassung folgt der positiven Stellungnahme des Ausschusses für Humanarzneimittel (CHMP). Die Entscheidung der Europäischen Kommission basiert auf den Daten der doppelblinden, placebokontrollierten Phase-2-Zulassungsstudie PIONEER - der bisher größten Studie zu ISM. Der Studienarm mit AYWAKYT® 25 mg + BSC (Best Supportive Care) zeigte klinisch bedeutsame Verbesserungen im Vergleich zu Placebo + BSC beim symptombezogenen primären Endpunkt sowie sekundären Endpunkten der objektiv gemessenen krankheitsbezogenen Messwerte.¹

Die Häufigkeit unerwünschter Ereignisse in der Zulassungsstudie war zwischen AYWAKYT® 25 mg + BSC und Placebo + BSC insgesamt vergleichbar.¹ Die häufigste Nebenwirkung unter AYWAKYT® 25 mg waren periphere Ödeme, die meisten davon wurden als leicht eingestuft (Grad 1). Weitere häufige Nebenwirkungen sind Insomnie, Flush, Lichtempfindlichkeitsreaktion, Gesichtsoedem und Erhöhung der alkalischen Phosphatase im Blut.³

Literatur

- 1) Gotlib J et al. NEJM Evidence. 2023 May 23;2(6):1–15
- 2) Schnaidt S, Jacob C. Prevalence and incidence of patients with systemic mastocytosis and the target population of avapritinib in Germany. Analysis of German claims data to support the epidemiology section (Module 3) of the AMNOG Dossier (§ 35a SGB V) for avapritinib. 2023. (Daten nicht veröffentlicht)
- 3) EMA. Anhang 1. Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels. AYVAKYT, Stand der Information Dezember 2023

Kontakt:

Blueprint Medicines (Germany) GmbH
Dr. Hedwig Silies
Senior Director, P&MA Lead DACH & Nordic Countries Lead
publicrelations.de@blueprintmedicines.com
Unicorn Workspaces
Kaufingerstraße 24
80331 München