



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/510102/2023  
EMA/H/C/005208

## Ayvakyt (*avapritinib*)

Información general sobre Ayvakyt y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

### ¿Qué es Ayvakyt y para qué se utiliza?

Ayvakyt es un medicamento contra el cáncer que se utiliza para tratar a pacientes adultos con tumor del estroma gastrointestinal (GIST), un cáncer de estómago e intestino que no se puede extirpar mediante cirugía y que se ha extendido a otras partes del cuerpo. Ayvakyt se utiliza cuando las células cancerosas registran una mutación D842V, un cambio en el gen del receptor alfa del factor de crecimiento derivado de plaquetas (PDGFRA).

Ayvakyt también se utiliza para tratar a pacientes adultos con mastocitosis sistémica, un trastorno sanguíneo en el que el organismo produce demasiados mastocitos anómalos (un tipo de glóbulo blanco) que pueden acumularse en la piel, los huesos, las articulaciones, los ganglios linfáticos, el hígado, el bazo, el estómago y el intestino.

Se utiliza para tratar las siguientes formas avanzadas de mastocitosis sistémica: mastocitosis sistémica agresiva, mastocitosis sistémica asociada a una neoplasia hematológica (cáncer hematológico) o leucemia mastocitaria. El medicamento se administra después de que el paciente haya recibido al menos un tratamiento sistémico (tratamiento con medicamentos que afectan a todo el organismo).

Ayvakyt también se utiliza para tratar a pacientes adultos con síntomas moderados o graves de mastocitosis sistémica indolente (MSI), una forma de mastocitosis sistémica de crecimiento lento. Se administra si el paciente no ha respondido al tratamiento sintomático (tratamiento que alivia los síntomas de una enfermedad sin abordar su causa).

Estas enfermedades son «raras» y Ayvakyt fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el [17 de julio de 2017](#) (GIST) y el [26 de octubre de 2018](#) (mastocitosis).

Ayvakyt contiene el principio activo avapritinib.

### ¿Cómo se usa Ayvakyt?

Ayvakyt solo se podrá dispensar con receta médica y el tratamiento solo lo debe iniciar y supervisar un médico con experiencia en el diagnóstico y el tratamiento del GIST, la mastocitosis sistémica avanzada o la MSI.

---

**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



Ayvakyt se presenta en comprimidos para tomar en ayunas por vía oral. La dosis recomendada depende de la enfermedad que se esté tratando. En el caso de los pacientes que están tomando otros medicamentos denominados «inhibidores del CYP3A», puede ser necesario evitar el uso concomitante o utilizar una dosis más baja, ya que estos medicamentos podrían interferir en la forma en que Ayvakyt se descompone en el organismo. Si el paciente experimenta determinados efectos adversos es posible interrumpir o abandonar el tratamiento con Ayvakyt o reducir la dosis del mismo.

Para mayor información sobre el uso de Ayvakyt, consulte el prospecto o póngase en contacto con su médico o farmacéutico.

## **¿Cómo actúa Ayvakyt?**

Ayvakyt forma parte de un grupo de medicamentos denominados «inhibidores del receptor de la tirosina cinasa». El medicamento actúa bloqueando la actividad de las proteínas receptoras de la tirosina cinasa llamadas PDGFRA y KIT que se encuentran en la superficie del GIST o los mastocitos. Estas proteínas ayudan a controlar el crecimiento celular y pueden ser anómalas (con mutación) en el GIST y en los mastocitos, haciendo que las células se multipliquen sin control. Al bloquear la acción de las proteínas anómalas, se espera que el medicamento ayude a ralentizar el crecimiento del GIST o de los mastocitos.

## **¿Qué beneficios ha demostrado tener Ayvakyt en los estudios realizados?**

### **Tumor del estroma gastrointestinal**

Ayvakyt mostró beneficios en un estudio principal en el que participaron 38 pacientes con GIST, en el que las células cancerosas presentaban una mutación (cambio) en la proteína PDGFRA llamada «mutación D842V». En el estudio, en el que no se comparó Ayvakyt con ningún otro medicamento, la enfermedad respondió al tratamiento en el 95 % de los pacientes (36 de 38) y pasó una media de 22 meses antes de que el cáncer empeorara en los pacientes tratados.

### **Mastocitosis sistémica avanzada**

Para la mastocitosis sistémica avanzada, Ayvakyt mostró beneficios en un estudio principal en curso: de los 47 pacientes con mastocitosis sistémica avanzada que habían recibido un tratamiento sistémico anteriormente, 28 (60 %) respondieron al tratamiento con Ayvakyt. Aunque los pacientes han sido objeto de seguimiento durante un período limitado, se espera que la respuesta dure por término medio al menos 12 meses.

### **Mastocitosis sistémica indolente**

Ayvakyt ha demostrado ser eficaz en la reducción de la gravedad de los síntomas de la MSI en un estudio en curso en el que participan 212 pacientes con MSI de moderada a grave que no habían respondido al tratamiento sintomático. En el estudio se comparó Ayvakyt con un placebo (tratamiento ficticio). Todos los pacientes recibieron también tratamiento para controlar los síntomas de su enfermedad, determinado por su médico. Se evaluó la gravedad de los síntomas de la MSI utilizando la puntuación total de síntomas (PTS) del formulario de evaluación de síntomas de la MSI, un sistema de puntuación que evalúa la gravedad de 11 síntomas de la MSI. Tras 24 semanas de tratamiento, los pacientes tratados con Ayvakyt experimentaron, por término medio, una reducción del 16 % en su puntuación PTS, en comparación con el 9 % en el caso de los que recibieron placebo. Al cabo de 24 semanas de tratamiento, alrededor del 53 % de los pacientes tratados con Ayvakyt alcanzaron el objetivo de una reducción de al menos el 50 % en los niveles de mastocitos o agregados (acumulación) de mastocitos en la médula ósea.

## ¿Cuáles son los riesgos asociados a Ayvakyt?

La lista completa de efectos adversos y restricciones de Ayvakyt se puede consultar en el prospecto.

Los efectos adversos más frecuentes de Ayvakyt (pueden afectar a más de 20 de cada 100 pacientes) son náuseas, cansancio, anemia (recuento bajo de glóbulos rojos), edema periorbitario, facial o periférico (hinchazón de los ojos, el rostro, los tobillos o los pies), hiperbilirrubinemia (altos niveles de bilirrubina en la sangre que apuntan a problemas hepáticos), diarrea, vómitos, aumento del lagrimeo (ojos llorosos), disminución del apetito y deterioro de la memoria (olvido).

Los efectos adversos graves más frecuentes de Ayvakyt en pacientes con GIST (pueden afectar hasta a 6 de cada 100 pacientes) son anemia y derrame pleural (líquido alrededor de los pulmones).

En pacientes con mastocitosis sistémica avanzada, los efectos adversos más frecuentes (pueden afectar a más de 20 de cada 100 pacientes) son edema periorbitario y periférico, trombocitopenia (recuento bajo de plaquetas en sangre) y anemia.

Los efectos adversos graves más frecuentes (pueden afectar hasta a 2 de cada 100 pacientes) son hematoma subdural (acumulación de sangre entre el cráneo y la superficie del cerebro), anemia y hemorragia.

En pacientes con MSI, el efecto adverso más frecuente (pueden afectar a más de 10 de cada 100 pacientes) es el edema periférico.

## ¿Por qué se ha autorizado Ayvakyt en la UE?

La Agencia Europea de Medicamentos decidió que los beneficios de Ayvakyt eran mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE.

Ayvakyt benefició a una alta proporción de pacientes con GIST con una mutación D842V de PDGFRA durante un período de tiempo significativo. No se conocen resultados similares y son mejores que los descritos en los informes de otros medicamentos del mismo tipo en esta población de pacientes, que no cuentan con muchas opciones de tratamiento. Aunque Ayvakyt también tuvo importantes efectos adversos, estos fueron en su mayor parte similares a los de otros medicamentos del mismo tipo y se consideraron manejables.

En el caso de la mastocitosis sistémica avanzada, en la que las opciones de tratamiento también son limitadas, los beneficios fueron prometedores y clínicamente significativos, mientras que el perfil de seguridad global parece coherente con el observado para el GIST.

En el caso de la MSI, Ayvakyt demostró disminuir tanto la gravedad de los síntomas como el nivel anómalo de mastocitos de los pacientes. En el momento de la autorización, no había tratamientos aprobados que trataran la causa subyacente o que tuvieran un impacto en la evolución de la MSI. No se detectaron nuevos problemas de seguridad con Ayvakyt cuando se utilizó para el tratamiento de la MSI. Si bien persisten algunas incertidumbres sobre la seguridad y la eficacia a largo plazo de Ayvakyt en el tratamiento de la MSI, estas se abordarán con más datos del estudio en curso en pacientes con MSI.

A Ayvakyt se le concedió una «autorización condicional». Esto significa que la Agencia Europea de Medicamentos decidió que los beneficios de Ayvakyt son mayores que sus riesgos, pero la compañía tendrá que aportar más pruebas tras la autorización.

La autorización condicional se concede sobre la base de datos menos exhaustivos de lo que se requiere normalmente. Se concede para los medicamentos que satisfacen una necesidad médica no cubierta de tratar enfermedades graves, y cuando los beneficios de disponer antes de esos medicamentos superan

los riesgos asociados al uso de los medicamentos mientras se esperan más pruebas. La Agencia revisará anualmente la información más reciente de que se disponga hasta que los datos sean completos, y actualizará esta información general cuando sea necesario.

Dado que a Ayvakyt se le concedió una autorización condicional, la compañía que lo comercializa proporcionará resultados adicionales sobre la seguridad y la eficacia del medicamento procedentes de un estudio de Ayvakyt tal como lo utilizan los pacientes con GIST en la vida real.

### **¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Ayvakyt?**

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Ayvakyt se han incluido en la ficha técnica o resumen de las características del producto y el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Ayvakyt se controlan de forma continua. Los supuestos efectos adversos notificados de Ayvakyt se evalúan cuidadosamente, y se adoptan las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

### **Otra información sobre Ayvakyt**

Ayvakyt recibió una autorización de comercialización condicional válida en toda la UE el 24 de septiembre de 2020.

Puede encontrar más información sobre Ayvakyt en la página web de la Agencia:  
[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/ayvakyt](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/ayvakyt).

Fecha de la última actualización del presente resumen: 01-2024.