

AYVAKYT® (avapritinib) di Blueprint Medicines riceve l'approvazione della Commissione Europea come primo e unico trattamento per la mastocitosi sistemica indolente.

Nell'Unione Europea, i pazienti affetti da mastocitosi sistemica indolente dispongono ora di un farmaco approvato che tratta la causa principale della malattia

Approvazione basata sui dati dello studio PIONEER, in cui AYVAKYT ha ottenuto miglioramenti significativi in un'ampia gamma di sintomi con un profilo di sicurezza paragonabile al placebo<sup>1</sup>

CAMBRIDGE, Massachusetts, 12 dicembre 2023

/PRNewswire/ -- Blueprint Medicines

Corporation(Nasdaq: BPMC) ha annunciato oggi che la Commissione Europea ha approvato AYVAKYT® (avapritinib) per il trattamento di pazienti adulti

affetti da mastocitosi sistemica indolente (ISM) con sintomi da moderati a gravi non adeguatamente controllati dal trattamento sintomatico. AYVAKY è la prima e unica terapia approvata per le persone che vivono con ISM in Europa. La mastocitosi sistemica (SM) è una malattia ematologica rara che può portare a una serie di sintomi debilitanti con un impatto significativo sulla qualità della vita dei pazienti. La maggior parte dei pazienti affetti da SM è affetta da ISM e nell'Unione europea sono circa 40.000 le persone che convivono con ISM.

AYVAKYT è stato concepito per colpire in modo potente e selettivo il KIT D816V, il principale fattore scatenante della malattia. “L’approvazione di oggi rappresenta un passo importante verso la fornitura di un nuovo standard globale di cura per i pazienti affetti da ISM e si basa su anni di collaborazione con la comunità SM”, ha affermato Georg Pirmin Meyer,

M.D., Senior Vice President, International presso Blueprint Medicines. “Per la prima volta in Europa i pazienti affetti da ISM hanno una terapia approvata, segnando una nuova era nel trattamento di questa malattia. AYVAKYT è il primo medicinale approvato sia per l’ISM che per l’SM avanzato, e il nostro team è impegnato a portare questa terapia trasformativa ai pazienti in tutto lo spettro della malattia”. “La mastocitosi sistemica indolente può essere caratterizzata da un significativo carico di sintomi in più sistemi di organi, che può avere un profondo impatto sulla capacità dei pazienti di svolgere le attività della vita quotidiana in una percentuale rilevante di pazienti”, ha affermato Jens Panse, M.D., vicedirettore del dipartimento

Dipartimento di Ematologia/Oncologia dell'Ospedale Universitario RWTH Aachen. “AYVAKYT rappresenta un importante passo avanti nel trattamento poiché è

il primo medicinale approvato per i pazienti affetti da ISM e l'unica terapia progettata per colpire selettivamente il driver genetico primario della malattia. Nello studio PIONEER, AYVAKYT ha mostrato benefici clinici statisticamente significativi e duraturi in tutti i sintomi ISM misurati con un profilo di sicurezza ben tollerato. Sulla base di questi dati che cambiano la pratica, AYVAKYT ha il potenziale per far avanzare il trattamento per un'ampia gamma di pazienti che vivono con ISM". L'approvazione fa seguito al parere positivo del Comitato per i medicinali per uso umano (CHMP), e questa decisione della CE si basa sui dati dello studio PIONEER in doppio cieco, controllato con placebo – il più grande studio mai condotto nell'ISM. AYVAKYT ha dimostrato clinicamente miglioramenti significativi rispetto al placebo negli endpoint primari e in tutti gli endpoint secondari chiave, inclusi i sintomi generali e le misure del carico mastocitario.

AYVAKYT è stato ben tollerato con un profilo di sicurezza favorevole e la maggior parte degli eventi avversi (EA) sono stati segnalati come lievi (grado 1). Gli eventi avversi più comuni sono stati vampate, edema, aumento del fosfato alcalino nel sangue e insonnia.<sup>1</sup> “Molte persone che vivono con mastocitosi sistemica indolente affrontano sintomi imprevedibili e gravi, che compromettono significativamente la loro capacità di lavorare o trascorrere del tempo di qualità con la famiglia, gli amici e le comunità, ” ha affermato Patrizia Marcis, Presidente dell'Associazione Italiana Mastocitosi (ASIMAS) ODV. “L’approvazione di oggi offre un nuovo senso di speranza alla comunità ISM e siamo orgogliosi di collaborare con ricercatori clinici, pazienti e aziende come Blueprint Medicines per promuovere la cura di tutti coloro che vivono con la malattia”. In Europa, Blueprint Medicines prevede di avviare il suo primo

lancio commerciale in Germania, seguito da altri mercati sulla base della valutazione della tecnologia sanitaria locale e delle tempistiche del processo di rimborso. ### Informazioni su AYVAKYT®

(avapritinib) AYVAKYT® (avapritinib) è un inibitore della chinasi approvato dalla Commissione Europea

per il trattamento di tre indicazioni: adulti con mastocitosi sistemica indolente (ISM), adulti con mastocitosi sistemica aggressiva (ASM), mastocitosi sistemica con neoplasia ematologica associata (SM-AHN) o leucemia mastocitaria (MCL), dopo almeno un trattamento sistemico terapia e adulti con tumori stromali gastrointestinali (GIST) non resecabili o metastatici che ospitano la mutazione PDGFRA

D842V.4 Con il marchio AYVAKIT®, il medicinale è approvato negli Stati Uniti per il trattamento di adulti con ISM, adulti con SM avanzata, inclusa ASM , SM-AHN e MCL e adulti con GIST non resecabile o metastatico che presentano una mutazione dell'esone

18 PDGFRA, comprese le mutazioni PDGFRA D842V.5  
Per informazioni sugli studi clinici in corso o  
pianificati, contattare Blueprint Medicines at  
medinfoeurope@blueprintmedicines.com e +31 85  
064 4001.

Ulteriori informazioni sono disponibili su  
[blueprintclinicaltrials.com](http://blueprintclinicaltrials.com) e [clinicaltrials.gov](http://clinicaltrials.gov). Fare clic  
qui per visualizzare il riepilogo delle caratteristiche  
del prodotto per AYVAKYT. Informazioni sulla  
mastocitosi sistemica La mastocitosi sistemica (SM) è  
una malattia rara causata dalla mutazione KIT D816V  
in circa il 95% dei casi.<sup>6</sup> La proliferazione e  
l'attivazione incontrollata dei mastociti provocano  
sintomi cronici, gravi e spesso imprevedibili per i  
pazienti in tutto lo spettro della SM. Nell'Unione  
Europea, circa 40.000 persone convivono con  
mastocitosi sistemica indolente.<sup>2,3\*</sup> Un'ampia  
gamma di sintomi, tra cui anafilassi, rash

maculopapulare, prurito, diarrea, confusione mentale, affaticamento e dolore osseo persistono frequentemente nei pazienti con ISM nonostante il trattamento con molteplici terapie dirette ai sintomi. Questo carico di malattie può portare ad un profondo impatto negativo sulla qualità della vita. I pazienti spesso vivono nella paura di sintomi gravi e inaspettati, hanno una capacità limitata di lavorare o svolgere attività quotidiane e si isolano per proteggersi da fattori scatenanti imprevedibili.

Informazioni su Blueprint Medicines  
Blueprint Medicines è un'azienda globale di terapie di precisione che inventa terapie che cambiano la vita per le persone affette da cancro e malattie del sangue. Applicando un approccio preciso e agile, creiamo farmaci che prendono di mira selettivamente i fattori genetici, con l'obiettivo di rimanere un passo avanti attraverso le fasi della malattia.

Dal 2011, abbiamo sfruttato la nostra piattaforma di ricerca, che comprende competenze nel targeting molecolare e capacità di progettazione di farmaci di livello mondiale, per tradurre in modo rapido e riproducibile la scienza in un'ampia pipeline di terapie di precisione. Oggi abbiamo portato i nostri farmaci approvati a pazienti negli Stati Uniti e in Europa e stiamo portando avanti a livello globale molteplici programmi per i disturbi dei mastociti, tra cui la mastocitosi sistemica e l'orticaria cronica, il cancro al seno e altri tumori vulnerabili all'inibizione del CDK2, nonché dell'EGFR. -cancro polmonare mutante. Per ulteriori informazioni, visitare [www.BlueprintMedicines.com](http://www.BlueprintMedicines.com) e seguirci su Twitter (@BlueprintMeds) e LinkedIn. Nota cautelativa riguardante le dichiarazioni previsionali Il presente comunicato stampa contiene dichiarazioni previsionali ai sensi del Private Securities Litigation Reform Act del 1995, come modificato, comprese,

senza limitazione, dichiarazioni riguardanti le opinioni di Blueprint Medicines rispetto alle implicazioni dell'approvazione di AYVAKYT per le persone che vivono con la ISM in Europa; piani per il primo lancio commerciale di Blueprint Medicines in Germania, seguito da altri mercati; piani, strategie, tempistiche e aspettative per i farmaci e i candidati farmaci approvati attuali o futuri da Blueprint Medicines; i potenziali benefici di qualsiasi farmaco o candidato farmaco approvato attuale o futuro da Blueprint Medicines nel trattamento dei pazienti; e la performance finanziaria, la strategia, gli obiettivi e le tappe fondamentali previste, i piani aziendali e il focus di Blueprint Medicines.

Le parole "obiettivo", "può", "volontà", "potrebbe", "sarebbe", "dovrebbe", "aspettarsi", "pianificare", "anticipare", "intendere", "credere", "stimare", "prevedere", "progetto", "potenziale", "continuare",

"obiettivo" ed espressioni simili hanno lo scopo di identificare le dichiarazioni previsionali, sebbene non tutte le dichiarazioni previsionali contengano queste parole identificative. Qualsiasi dichiarazione previsionale contenuta nel presente comunicato stampa si basa sulle aspettative e convinzioni attuali del management e è soggetta a una serie di rischi, incertezze e fattori importanti che potrebbero far sì che eventi o risultati effettivi differiscano materialmente da quelli espressi o impliciti da qualsiasi dichiarazione previsionale. dichiarazioni contenute nel presente comunicato stampa, tra cui, a titolo esemplificativo: l'attività preliminare e i dati sulla sicurezza potrebbero non essere rappresentativi di dati più maturi; il rischio di ritardo di eventuali studi clinici in corso o pianificati o dello sviluppo di farmaci candidati attuali o futuri di Blueprint Medicines; rischi legati alla capacità di Blueprint Medicines di dimostrare con successo la

sicurezza e l'efficacia dei suoi farmaci candidati e di ottenere l'approvazione dei suoi farmaci candidati in modo tempestivo, se non del tutto; i risultati preclinici e clinici per i farmaci candidati di Blueprint Medicines potrebbero non supportare l'ulteriore sviluppo di tali farmaci candidati sia come monoterapie che in combinazione con altri agenti o potrebbero influenzare la tempistica prevista dei dati o delle presentazioni normative; i tempi di avvio degli studi clinici e delle coorti di studio nei siti di sperimentazione clinica e i tassi di arruolamento dei pazienti potrebbero essere ritardati o più lenti del previsto; le azioni delle agenzie di regolamentazione possono influenzare l'avvio, i tempi e il progresso delle sperimentazioni cliniche; il successo delle collaborazioni attuali e future, degli accordi di finanziamento, delle partnership o degli accordi di licenza di Blueprint Medicines potrebbe influire sulla capacità di Blueprint Medicines di sfruttare il

potenziale di mercato dei suoi farmaci approvati e dei farmaci candidati; e rischi legati alla capacità di Blueprint Medicines di ottenere, mantenere e far rispettare brevetti e altre protezioni di proprietà intellettuale per i suoi prodotti e per i farmaci candidati attuali o futuri che sta sviluppando.

Qualsiasi dichiarazione previsionale contenuta nel presente comunicato stampa rappresenta le opinioni di Blueprint Medicines solo alla data odierna e non deve essere considerata come rappresentativa delle sue visualizzazioni a partire da qualsiasi data successiva. Fatto salvo quanto richiesto dalla legge, Blueprint Medicines declina esplicitamente qualsiasi obbligo di aggiornare eventuali dichiarazioni previsionali. Bibliografia \*Sulla base dello studio Cohen del 2014 su 548 adulti con SM diagnosticata dal 1997 al 2010 in registri sanitari nazionali danesi collegati, con una prevalenza di durata limitata a 14

anni stimata a 9,59 per 100.000 al 1 gennaio 2011 1.  
Gotlib J, et al . Avapritinib contro placebo nella  
mastocitosi sistemica indolente. NEJM Evid 2023;2(6)  
23 maggio 2023. 2. Cohen SS et al. Epidemiologia  
della mastocitosi sistemica in Danimarca. Br J  
Ematolo. 2014;166(4):521-8. 3.OrphaNet.

Mastocitosi sistemica indolente disponibile  
all'indirizzo: [https://www.orpha.net/consor/cgi-  
bin/OC\\_Exp.php?lng=en&Expert=98848](https://www.orpha.net/consor/cgi-bin/OC_Exp.php?lng=en&Expert=98848).

AYVAKYT SMPC. Disponibile all'indirizzo:  
[https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-  
-information/ayvakyat-epar-product-  
information\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/ayvakyat-epar-product-information_en.pdf)

AYVAKIT (avapritinib) Informazioni sulla  
prescrizione. Disponibile su:

<https://www.blueprintmedicines.com/wpcontent/uploads/uspi/AYVAKIT.pdf>

6. Mesa R.A et al. Percezione del carico di malattia del paziente e approcci gestionali nella mastocitosi sistemica: risultati del TouchStone Healthcare Provider