

Saksnummer: (fylles ut av sekretariat for Nye metoder)

## Notat til Bestillerforum for nye metoder

<b>Til:</b>	<i>Bestillerforum for nye metoder</i>
<b>Fra:</b>	<i>Direktoratet for medisinske produkter</i>
<b>Dato:</b>	<i>27.06.2024</i>

### Hva saken omhandler i korte trekk

Oppdrag ID2023\_043, en hurtig metodevurdering med en kostnad-nytte vurdering (løp C) gjennomføres ved Statens legemiddelverk (nå DMP) for avapritinib (Ayvakyt) til behandling av indolent systemisk mastocytose.

Oppdragsdato: 24.04.2023

DMP har ikke mottatt dokumentasjon fra legemiddelfirma.

Metodesiden bør oppdateres og harmonere med godkjent indikasjon:

Ayvakyt er indisert til behandling av voksne pasienter med indolent systemisk mastocytose (ISM) med moderate til alvorlige symptomer som ikke er tilstrekkelig kontrollert med symptomatisk behandling.

### Bakgrunn for saken

Direktoratet for medisinske produkter (DMP) bestilte dokumentasjon til metodevurderinger (23.03.2023). Vi har sendt flere forespørsler til legemiddelfirma, om når de estimerer å sende inn dokumentasjon til metodevurdering for dette oppdraget. DMP har ikke mottatt noen konkret tidsplan for innsendelse av dokumentasjon til metodevurdering fra firma i denne saken. Siste forespørsel ble sendt 18.03.2024 og DMP har ikke mottatt tilbakemelding fra firma.

**Informasjon om aktuelt legemiddel:**

<b>Handelsnavn</b>	Ayvakyt
<b>Virkestoff</b>	Avapritinib
<b>ATC-kode</b>	L01EX18
<b>Legemiddelfirma</b>	Blueprint Medicines (Netherlands) B.V.
<b>Godkjent indikasjon (MT)</b>	<p><u>Inoperabel eller metastatisk gastrointestinal stromal tumor (GIST)</u> AYVAKYT er indisert som monoterapi til behandling av voksne pasienter med inoperabel eller metastatisk gastrointestinal stromal tumor (GIST) som har blodplatederivert vekstfaktor-reseptor alfa (PDGFRA) D842V-mutasjon.</p> <p><u>Avansert systemisk mastocytose (AdvSM)</u> AYVAKYT er indisert som monoterapi til behandling av voksne pasienter med aggressiv systemisk mastocytose (ASM), systemisk mastocytose med en tilknyttet hematologisk neoplasme (SM-AHN) eller mastcelleleukemi (MCL), etter minst én tidligere systemisk behandling.</p> <p><u>Indolent systemisk mastocytose (ISM)</u> AYVAKYT er indisert til behandling av voksne pasienter med indolent systemisk mastocytose (ISM) med moderate til alvorlige symptomer som ikke er tilstrekkelig kontrollert med symptomatisk behandling.</p>
<b>MT-dato</b>	24.09.2020
<b>MT-dato aktuell indikasjon</b>	11.12.2023
<b>Aktuell indikasjon</b>	<a href="#">AYVAKYT er indisert til behandling av voksne pasienter med indolent systemisk mastocytose (ISM) med moderate til alvorlige symptomer som ikke er tilstrekkelig kontrollert med symptomatisk behandling.</a>
<b>Øvrige indikasjoner og status i Nye Metoder</b>	<p>Det er to tidligere oppdrag for dette legemiddelet og firma har ikke levert dokumentasjon for disse indikasjonene.</p> <p><a href="#">1. ID2020_002: Behandling av avansert gastrointestinal stromal tumor (GIST).</a></p> <p><a href="#">2. ID2021_119: Behandling av avansert systemisk mastocytose.</a></p>
<b>Administrasjonsform</b>	Peroralt, tablett, filmdrasjert
<b>Dosering</b>	Se Preparatomtalen for dosering
<b>Markedsføringsstatus</b>	Ikke markedsført på det norske markedet
<b>Lenke til godkjent preparatomtale</b>	<a href="#">Preparatomtale (SPC)</a>
<b>Lenke til EPAR</b>	<a href="#">Avapritinib (Ayvakyt) - EPAR Medicine Overview</a>  <a href="#">Avapritinib (Ayvakyt) - Assessment report</a>

Det foreligger ingen aktuelle metodevurderinger fra andre land:

Sverige, (TLV / Janusinfo): N.A.

Danmark, (Medicinrådet): N.A.

Skottland, (SMC): N.A.

England, (NICE / NHS): N.A.

Canada, (CADTH): N.A.

**Prisinformasjon:** Ayyvakyt er ikke markedsført og har ikke maksimalpris i Norge.

#### **Salg av legemiddelet**

Farmalogg (<https://www.farmalogg.no>) viser at det ikke registrert noe salg for dette preparatet.

#### **Anbefaling til Bestillerforum**

I lys av opplysningene gitt over, anbefaler DMP at saken tas videre til beslutning.

Legemiddelfirma har fått dette notatet til informasjon.

Direktoratet for medisinske produkter, 27.06.2024

Elisabeth Bryn

Enhetsleder