

Anmodning om vurdering av legemiddel i Nye metoder

Skjema for leverandører

En leverandør som ønsker offentlig finansiering av et legemiddel/legemiddelindikasjon i den norske spesialisthelsetjenesten, skal anmode om vurdering i Nye metoder ved å fylle ut dette skjemaet.

Utfyllt anmodningsskjema sendes til Nye metoder: nyemetoder@helse-sorost.no

Leverandøren skal på anmodningstidspunktet både ha et forslag til type helseøkonomisk analyse og en plan for når de leverer dokumentasjonen. Merk at dokumentasjon i henhold til oppdraget fra Bestillerforum for nye metoder må leveres inn senest 12 måneder etter anmodningstidspunktet.

Hele anmodningsskjemaet skal fylles ut. Mer informasjon og veiledning finnes i artikkelen [For leverandører \(nyemetoder.no\)](https://nyemetoder.no)

Merk: Skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no.

Innsender er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet (må krysses av):

Fyll ut dato for innsending av skjema: 05.06.2026

1 Kontaktopplysninger	
1.1 Leverandør (innehaver/søker av markedsføringstillatelse i Norge)	Blueprint Medicines (Netherlands) B.V.
1.2 Navn kontaktperson	Hedwig Silies
1.3 Stilling kontaktperson	Senior Director of Pricing & Market Access DACH, Nordic Countries Lead
1.4 Telefon	+49 172 575 2505
1.5 E-post	hsilies@blueprintmedicines.com
Ekstern representasjon - vedlegg fullmakt	
1.6 Navn/virksomhet	N/A
1.7 Telefon og e-post	N/A

2 Legemiddelinformasjon og indikasjon	
2.1 Hva gjelder anmodningen? <i>Kryss av for hva anmodningen gjelder</i>	Et nytt virkestoff <input type="checkbox"/> En indikasjonsutvidelse / ny indikasjon <input checked="" type="checkbox"/> En ny styrke eller formulering <input type="checkbox"/>
2.2 Hvilken indikasjon gjelder anmodningen?	Norsk: Behandling av voksne pasienter med indolent systemisk mastocytose (ISM) med moderate til alvorlige

<p><i>Indikasjonen skal oppgis på norsk. Hvis prosess for godkjenning pågår, oppgi også indikasjon på engelsk.</i></p> <p><i>Merk: Leverandør skal anmode om vurdering av hele indikasjonen som de har fått godkjent eller søker om godkjenning for. Dersom leverandør foreslår en avgrensning til undergrupper, må dette begrunnes og leverandør må levere dokumentasjonen som trengs for å foreta en vurdering av undergruppen i tillegg til dokumentasjonen for hele indikasjonen.</i></p>	<p>symptomer som ikke er tilstrekkelig kontrollert med symptomatisk behandling.</p> <p>English: Treatment of adult patients with indolent systemic mastocytosis (ISM) with moderate to severe symptoms inadequately controlled on symptomatic treatment.</p>
<p>2.3 Handelsnavn</p>	<p>AYVAKYT®</p>
<p>2.4 Generisk navn/virkestoff</p>	<p>Avapritinib</p>
<p>2.5 ATC-kode</p>	<p>L01EX18</p>
<p>2.6 Administrasjonsform og styrke</p> <p><i>Oppgi også forventet dosering og behandlingstid</i></p> <p><i>Skriv kort</i></p>	<p>The recommended dose of avapritinib is 25 mg orally once daily on an empty stomach.</p> <p>For ISM, treatment is typically administered continuously over a long period of time, so long as the patient derives clinical benefit and tolerates the therapy without unacceptable adverse effects. In practice, the expected time on treatment for responders is 5 years as validated by Norwegian clinicians.</p>
<p>2.7 Farmakoterapeutisk gruppe og virkningsmekanisme.</p> <p><i>Skriv kort</i></p>	<p>Avapritinib is a Type 1 kinase inhibitor that has demonstrated biochemical in vitro activity on the PDGFRA D842V and KIT D816V mutants associated with resistance to imatinib, sunitinib and regorafenib with half maximal inhibitory concentrations (IC50) of 0.24 nM and 0.27 nM, respectively, and greater potency against clinically relevant KIT exon 11, KIT exon 11/17 and KIT exon 17 mutants than against the KIT wild-type enzyme.</p>

<h3>3 Historikk – virkestoff og indikasjon</h3>	
<p>3.1 Har Nye metoder behandlet metoder med det aktuelle virkestoffet tidligere?</p> <p><i>Hvis ja, oppgi ID-nummer til metoden/metodene i Nye metoder</i></p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>ID-nummer: ID2020_002 ID2021_119</p> <p>Additionally, there is information for avapritinib available from Horizon Scanning Procedure with the number: ID2023_043</p>

<p>3.2 Er du kjent med om andre legemidler/virkestoff er vurdert i Nye metoder til samme indikasjon?</p> <p><i>Hvis ja, oppgi ID-nummer til metoden/metodene i Nye metoder</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>ID-nummer: N/A</p>
<p>3.3 Er du kjent med om det er gjennomført en metodevurdering i et annet land som kan være relevant i norsk sammenheng?</p> <p><i>Hvis ja, oppgi referanse</i></p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>Referanse: Avapritinib was assessed by the Danish Medicines Council: Avapritinib (Ayvakyt) - Indolent systemisk mastocytose (ISM)</p>

<h4>4 Status for markedsføringstillatelse (MT) og markedsføring</h4>	
<p>4.1 Har legemiddelet MT i Norge for en eller flere indikasjoner?</p> <p><i>Hvis ja - skriv inn dato for norsk MT for den første indikasjonen</i></p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>Dato for MT for første indikasjon: 24.09.2020</p>
<p>4.2 Markedsføres legemiddelet i Norge?</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p>
<p>4.3 Har legemiddelet MT i Norge for anmodet indikasjon?</p> <p><i>For alle metoder: Fyll ut prosedyrenummer i EMA (det europeiske legemiddelbyrået)</i></p> <p><i>Hvis metoden ikke har MT i Norge, fyll ut forventet tidspunkt (måned/år) for CHMP opinion i EMA.</i></p> <p><i>Hvis metoden har MT i Norge, fyll ut dato for MT</i></p>	<p>MT i Norge: Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>Prosedyrenummer i EMA: EMA/H/C/005208/II/0023</p> <hr/> <p>Hvis metoden ikke har MT:</p> <p>Forventet tidspunkt for CHMP opinion i EMA (måned/år): N/A</p> <p>Forventet tidspunkt for markedsføringstillatelse (MT) for den aktuelle indikasjonen i Norge (måned/år): N/A</p> <hr/> <p>Hvis metoden har MT:</p> <p>Dato for MT i Norge for den aktuelle indikasjonen: 09.11.2023</p>
<p>4.4 Har legemiddelet en betinget markedsføringstillatelse for anmodet indikasjon?</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Beskrivelse:</p>

<i>Hvis ja, fyll ut en beskrivelse av hva som skal leveres til EMA og når.</i>	No, conditional marketing authorization is only based on the GIST indication.
4.5 Har anmodet indikasjon vært i «accelerated assessment» hos EMA?	Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/>
4.6 Har legemiddelet «orphan drug designation» i EMA? <i>Hvis ja, fyll ut dato</i>	Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/> Dato for «orphan drug designation»: 26.10.2018

5 Ordning for forenklet vurdering av PD-(L)1-legemidler

5.1 Er legemiddelet registrert i Nye metoders ordning «Forenklet vurdering av PD-(L)1-legemidler»?	Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/>
--	---

6 Sammenlignbarhet og anbud

6.1 Finnes det andre legemidler med lignende virkningsmekanisme og /eller tilsvarende effekt til den aktuelle indikasjonen?	Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/> Kommentar: N/A
6.2 Vurderer leverandør at legemiddelet i anmodningen er sammenlignbart med et eller flere andre legemidler som Nye metoder har besluttet å innføre til den samme indikasjonen? <i>Hvis ja, hvilke(t)? Oppgi ID-nummer på metoden/metodene i Nye metoder</i>	Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/> Legemiddel og ID-nummer: N/A
6.3 Er det eksisterende anbud på terapiområdet som kan være aktuelt for legemiddelet?	Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/> Kommentar: N/A

7 Nordisk samarbeid JNHB (Joint Nordic HTA-bodies)

7.1 Er anmodet indikasjon aktuell for utredning i det nordiske HTA-samarbeidet JNHB? <i>Hvis nei, begrunn kort</i>	Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/> Begrunnelse: Blueprint Medicines plan to launch avapritinib for ISM in the Nordics in a step wise manner.
---	---

--	--

8 Europeisk samarbeid om vurdering av relativ effekt og sikkerhet (HTAR)

<p>8.1 Er anmodet legemiddel/indikasjon omfattet av regelverket for utredning av relativ effekt og sikkerhet i europeisk prosess (HTAR)?</p> <p><i>Hvis ja, fyll ut dato for søknad om MT til EMA</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Dato for søknad til EMA:</p> <p>N/A</p>
---	--

9 Helseøkonomisk dokumentasjon og forslag til helseøkonomisk analyse

<p>9.1 Hvilken type helseøkonomisk analyse foreslår leverandøren?</p> <p><i>F.eks. kostnad-per-QALY analyse eller kostnadsminimeringsanalyse.</i></p> <p><i>Begrunn forslaget</i></p>	<p>Type of analysis: Cost-utility analysis. Type of model: Markov state-transition model. Endpoints included: ISM-SAF Total Symptom Score (TSS), health-related quality of life (HRQoL).</p> <p>The primary goal of treatment in ISM is symptom control; therefore, the model structure should be anchored in outcomes that demonstrate the treatment's impact on the substantial symptom burden experienced by patients. A key feature of the Markov model is that health states can be defined by disease severity, allowing sensitivity to clinically meaningful differences in condition rather than relying solely on treatment response rates.</p>
<p>9.2 Pasientpopulasjonen som den helseøkonomiske analysen baseres på, herunder eventuelle undergrupper.</p>	<p>Avapritinib is expected to be used within its label, which is adult patients with ISM with moderate to severe symptoms inadequately controlled on symptomatic treatment. No subgroups of patients are expected within this indication.</p>
<p>9.3 Hvilken dokumentasjon skal ligge til grunn? (H2H studie, ITC, konstruert komparatorarm etc.)</p> <p><i>Angi det som er relevant med tanke på hvilken type analyse som foreslås.</i></p>	<p>H2H: The efficacy and safety of avapritinib plus BSC with placebo plus BSC in patients is being investigated in the three-part, phase 2, randomised, double-blind, placebo-controlled trial PIONEER (NCT03731260)</p> <p>The primary efficacy and safety results are taken from part 2 of the PIONEER trial.</p>
<p>9.4 Forventet legemiddelbudsjett i det året med størst budsjettvirkning i de første fem år.</p>	<p>Not yet feasible to provide. Will be reported in the final submission.</p>

9.5 Forventet tidspunkt (måned og år) for levering av dokumentasjon til Direktoratet for medisinske produkter og/eller Sykehusinnkjøp HF.	30 September 2026
<i>Tidspunkt må oppgis</i>	

10 Sykdommen og eksisterende behandling	
<p>10.1 Sykdomsbeskrivelse for aktuell indikasjon</p> <p><i>Kort beskrivelse av sykdommens patofysiologi og klinisk presentasjon / symptombylde, eventuelt inkl. referanser</i></p>	<p>Mastocytosis is characterised by a pathological overgrowth and accumulation of mast cells in one or more organs. Mast cells are a type of white blood cell produced in the bone marrow that release inflammatory mediators and are involved in immune responses. The excessive production of inflammatory mediators in systemic mastocytosis can lead to a wide range of symptoms affecting different parts of the body. Cutaneous mastocytosis affects only the skin, in contrast to systemic mastocytosis. Indolent systemic mastocytosis accounts for 80–90% of systemic mastocytosis cases and can cause severe symptoms and a significantly reduced quality of life, but it does not affect survival in the same way as advanced forms of systemic mastocytosis, such as aggressive systemic mastocytosis and mast cell leukaemia (Mastocytose - systemisk - Oslo universitetssykehus HF).</p>
<p>10.2 Fagområde</p> <p><i>Angi hvilket fagområde som best beskriver metoden</i></p>	<p>Velg fagområde fra menyen:</p> <p>Blodsykdommer</p>
<p>10.3 Kreftområde</p> <p><i>Hvis metoden gjelder fagområdet Kreftsykdommer, angi hvilket krefrområde som er aktuelt</i></p>	<p>Velg kreftområde fra menyen:</p> <p>Blod- beinmargs- og lymfekreft</p>
<p>10.4 Dagens behandling</p> <p><i>Nåværende standardbehandling i Norge, inkl. referanse</i></p>	<p>There is currently no curative treatment available; only symptomatic treatments. Current treatment options include antihistamines, mast cell stabilisers (sodium cromoglicate), leukotriene receptor antagonists, benzodiazepines, and corticosteroids. The number and combination of symptomatic treatment in ISM is patient specific and is dependant on the symptoms experienced by the patient (https://oslo-universitetssykehus.no/fag-og-forskning/nasjonale-</p>

	og-regionale-tjenester/senter-for-sjeldne-diagnoser/diagnoseinformasjon-fra-senter-for-sjeldne-diagnoser/systemisk-mastocytose).
<p>10.5 Prognose</p> <p><i>Beskriv prognosen med nåværende behandlingstilbud, inkl. referanse</i></p>	<p>Currently, there are no treatments available that treat the underlying cause of ISM. Therefore, the primary objectives in patients with ISM are to control symptoms and comorbidities, improve quality of life and reduce anaphylactic shock events and treatment side effects (Buonomo et al. 2022; Siebenhaar et al., 2014).</p> <p>In patients diagnosed with ISM, despite treatment with standard-of-care symptomatic therapies, patients can progress to advanced forms of disease like SSM and advanced SM (Matito et al., 2013). Reported progression rates from ISM to advanced SM ranged from 2.9% (median follow-up: 4.2 years) (Trizuljak et al. 2020) to 7% (median follow-up: 9 years) (Muñoz-González et al., 2019). Data also show that a considerable proportion of ISM patients (15%) with mild symptoms experienced disease worsening to ISM with more severe symptom burden within a timeframe of two years (Muñoz-González et al. 2019)</p> <p>References:</p> <ul style="list-style-type: none"> - Buonomo A, Nucera E, Criscuolo M. Treatment of indolent and advanced systemic mastocytosis. <i>Mediterr J Hematol Infect Dis.</i> 2022;14(1). - Siebenhaar F, Akin C, Bindselev-Jensen C, Maurer M, Broesby-Olsen S. Treatment strategies in mastocytosis. <i>Immunol Allergy Clin North Am.</i> 2014;34(2):433-47. - Matito A, Morgado JM, Alvarez-Twose I, Sánchez-Muñoz L, Pedreira CE, Jara-Acevedo M, et al. Serum tryptase monitoring in indolent systemic mastocytosis: association with disease features and patient outcome. <i>PLoS One.</i> 2013;8(10):e76116. - Muñoz-González JI, Álvarez-Twose I, Jara-Acevedo M, Henriques A, Viñas E, Prieto C, et al. Frequency and prognostic impact of KIT and other genetic variants in indolent systemic mastocytosis. <i>Blood.</i> 2019;134(5):456-68. - Trizuljak J, Sperr WR, Nekvindová L, Elberink HO, Gleixner KV, Gorska A, et al. Clinical features and survival of patients with indolent systemic mastocytosis defined by the updated WHO classification. <i>Allergy.</i> 2020;75(8):1927-38.

<p>10.6 Det nye legemiddelets innplassering i behandlingsalgoritmen</p>	<p>Avapritinib is expected to be used as an add-on therapy to existing symptomatic treatment.</p>
<p>10.7 Pasientgrunnlag</p> <p><i>Beskrivelse, insidens og prevalens av pasienter omfattet av aktuell indikasjon* i Norge, inkl. referanse.</i></p> <p><i>Antall norske pasienter antatt aktuelle for behandling med legemiddelet til denne indikasjonen.</i></p> <p><i>* Hele pasientgruppen som omfattes av aktuell indikasjon skal beskrives</i></p>	<p>Systemic mastocytosis is a rare condition. In Norway, probably 400-500 patients are affected, and the disease is almost never seen in children (Mastocytose - systemisk - Oslo universitetssykehus HF).</p> <p>ISM is the most common form of systemic mastocytosis in Norway, accounting for 60-80% of all cases (https://nhi.no/sykdommer/sjeldne-tilstander/m/mastocytose-systemisk). According to Norwegian clinicians that Blueprint Medicines has engaged with, there are approximately 150 patients who are registered in the Norwegian ISM registry. Of those, it is expected that 35% of these patients will fall within the label of avapritinib, that is, moderate to severe ISM patients who are inadequately controlled on symptomatic treatment.</p> <p>Therefore, an estimated 53 ISM patients will be eligible for treatment with avapritinib in Norway.</p>

11 Studiekarakteristika for relevante kliniske studier			
	Studie 1	Studie 2	Studie 3
<p>11.1 Studie-ID</p> <p><i>Studienavn, NCT-nummer, hyperlenke</i></p>	<p>PIONEER (NCT03731260). https://clinicaltrials.gov/study/NCT03731260</p>	<p>N/A</p>	<p>N/A</p>
<p>11.2 Studietype og -design</p>	<p>A 3-Part, Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled Phase 2.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>11.3 Formål</p>	<p>To Evaluate Safety and Efficacy of Avapritinib</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

	(BLU-285), a Selective KIT Mutation-Targeted Tyrosine Kinase Inhibitor, in Indolent and Smoldering Systemic Mastocytosis With Symptoms Inadequately Controlled With Standard Therapy.		
<p>11.4 Populasjon</p> <p><i>Viktige inklusjons- og eksklusjonskriterier</i></p>	<p>Patients with indolent systemic mastocytosis (ISM) whose symptoms are not adequately controlled by BSC.</p> <p>Key Inclusion Criteria:</p> <ol style="list-style-type: none"> 1. Patient must have SM, confirmed by Central Pathology Review of BM biopsy, and central review of B- and C- findings by WHO diagnostic criteria. 2. Patient must have moderate-to-severe symptoms based on minimum mean total symptom score (TSS) of the ISM Symptom Assessment Form (ISM-SAF) over the 14-day eligibility screening period. 3. Patient must have failed to achieve adequate symptom control for 1 or more Baseline symptoms. 4. For patients receiving corticosteroids, the dose must be ≤ 20 mg/d prednisone or equivalent, and the dose 	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

	<p>must be stable for ≥ 14 days.</p> <p>5. Patient must have an Eastern Cooperative Oncology Group (ECOG) performance status (PS) of 0 to 2.</p> <p>Key Exclusion Criteria:</p> <ol style="list-style-type: none"> 1. Patient has been diagnosed with any of the following WHO SM subclassifications: cutaneous mastocytosis only, smoldering SM, SM with associated hematologic neoplasm, aggressive SM, mast cell leukemia, or mast cell sarcoma. 2. Patient must not have received prior treatment with avapritinib. 3. Patient must not have had any cytoreductive therapy including but not limited to masitinib and midostaurin, or investigational agent for < 14 days or 5 half-lives of the drug (whichever is longer), and for cladribine, interferon alpha, pegylated interferon, or antibody therapy < 28 days or 5 half-lives of the drug (whichever is longer), before beginning the 14-day ISM-SAF eligibility TSS assessment. 4. Patient must not have received radiotherapy or psoralen and ultraviolet A (PUVA) therapy < 14 days before beginning 		
--	--	--	--

	<p>the 14-day ISM-SAF eligibility TSS assessment.</p> <p>5. Patient must not have received any hematopoietic growth factor the preceding 14 days before beginning the 14-day ISM-SAF eligibility TSS assessment.</p> <p>6. Patient must not have a QT interval corrected using Fridericia's formula (QTcF) of > 480 msec.</p>		
<p>11.5 Intervensjon (n)</p> <p><i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i></p>	<p>In Part 1 of the study, patients will be randomly assigned to 1 of 3 doses of avapritinib or to placebo + BSC. Once the recommended phase 2 dose (RP2D) of avapritinib is identified in Part 1, patients in Part 2 will be randomly assigned to receive avapritinib at the RP2D + BSC or matching placebo + BSC. In Part 3, patients who have completed treatment in Part 1 or Part 2 of the study (including those initially randomized to placebo) may participate in a long-term open-label extension, receiving avapritinib at the RP2D + BSC</p> <p>In part 1, a dose of 25 mg once daily was identified as the recommended dose in part 2 and in part</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

	<p>Experimental: (Part 1) Avapritinib Dose 1 + BSC Avapritinib will be administered orally in continuous 28-day cycles</p> <p>Experimental: (Part 1) Avapritinib Dose 2 + BSC Avapritinib will be administered orally in continuous 28-day cycles</p> <p>Experimental: (Part 1) Avapritinib Dose 3 + BSC Avapritinib will be administered orally in continuous 28-day cycles</p> <p>Experimental: (Part 2) Avapritinib RP2D + BSC Avapritinib will be administered orally in continuous 28-day cycles (relevant for this application)</p> <p>Experimental: (Part 3) Avapritinib RP2D + BSC Avapritinib will be administered orally in continuous 28-day cycles.</p>		
<p>11.6 Komparator (n)</p> <p><i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i></p>	<p>Placebo Comparator: (Part 1) Placebo + BSC Placebo will be administered orally in</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

	<p>continuous 28-day cycles</p> <p>Placebo Comparator: (Part 2) Placebo + BSC Placebo will be administered orally in continuous 28-day cycles (relevant for this application)</p>		
<p>11.7 Endepunkter</p> <p><i>Primære, sekundære og eksplorative endepunkter, herunder definisjon, målemetode og ev. tidspunkt for måling</i></p>	<p>Part 1: Recommended Phase 2 dose (RP2D) in patients with ISM. Time frame: 9 months</p> <p>Part 2: Mean change in ISM Symptom Assessment Form (ISM-SAF) total symptom score (TSS) as compared to placebo. Measure description: 0 - 110 points (higher value represents worse symptom outcomes). Time frame: 6 months</p> <p>Part 3: Number of Participants with Adverse Events: Up to 5 years</p> <p>Part 2: Proportion of patients with a $\geq 50\%$ reduction in serum tryptase. Time frame: 6 months</p> <p>Part 2: Proportion of patients with a $\geq 50\%$ reduction in peripheral</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

	<p>blood V-kit Hardy-Zuckerman 4 feline sarcoma viral oncogene homolog aspartate 816 valine (KIT D816V) allele fraction or undetectable for patients with detectable mutation at Baseline. Time frame: 6 months</p> <p>Part 2: Proportion of patients with $\geq 50\%$ reduction in ISM-SAF TSS. Time frame: 6 months</p> <p>Part 2: Proportion of patients with $\geq 30\%$ reduction in ISM-SAF TSS. Time frame: 6 months</p> <p>Part 2: Proportion of patients with a $\geq 50\%$ reduction in bone marrow mast cells or no aggregates for patients with aggregates at Baseline. Time frame: 6 months</p> <p>Parts 1, 2, and 3: Change in serum tryptase. Time frame: Up to 5 years</p> <p>Parts 1, 2, and 3: Change in KIT D816V allele burden in blood. Time frame: Up to 5 years</p> <p>Parts 1, 2, and 3: Change in bone marrow mast cells. Time frame: Up to 5 years</p> <p>Parts 1, 2, and 3: Change in best supportive care (BSC)</p>		
--	--	--	--

	<p>concomitant medication usage: Time frame: Up to 5 years</p> <p>Parts 1, 2, and 3: Change from Baseline in ISM-SAF Score. Time frame: Up to 5 years</p> <p>Parts 1, 2, and 3: Change in Mastocytosis Quality of Life Questionnaire (MC-QoL). Time frame: Up to 5 years</p> <p>Parts 1, 2, and 3: Change in Patient's Global Impression of Symptom Severity (PGIS). Time frame: Up to 5 years</p> <p>Parts 1, 2, and 3: Change in 12-item Short Form Health Survey (SF-12). Time frame: Up to 5 years</p> <p>Parts 1, 2, and 3: Change in Patients' Global Impression of Change (PGIC): Time frame: Up to 5 years</p> <p>Parts 1, 2, and 3: Change in EuroQuol 5 Dimensions 5 Levels (EQ 5D-5L): Time frame up to 5 years</p> <p>Parts 1, 2, and 3: Safety of avapritinib as assessed by number of adverse events: Time frame: Up to 5 years</p>		
--	---	--	--

<p>11.8 Relevante subgruppeanalyser</p> <p><i>Beskrivelse av ev. subgruppeanalyser</i></p>	N/A	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
<p>11.9 Oppfølgingstid</p> <p><i>Hvis pågående studie, angi oppfølgingstid for data som forventes å være tilgjengelige for vurderingen hos Direktoratet for medisinske produkter samt den forventede/planlagte samlede oppfølgingstid for studien</i></p>	<p>A follow-up of up to 5 to years is expected in the OLE phase of the trial.</p> <p>At present, 3 years of follow-up is available and will be presented in the dossier.</p>	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
<p>11.10 Tidsperspektiv resultater</p> <p><i>Pågående eller avsluttet studie? Tilgjengelige og fremtidige datakutt</i></p>	Latest data cut off is available from March 2025.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
<p>11.11 Publikasjoner</p> <p><i>Tittel, forfatter, tidsskrift og årstall. Ev. forventet tidspunkt for publisering</i></p>	<p>Avapritinib improves cutaneous involvement in patients with indolent systemic mastocytosis: Results from the randomized, phase 2, interventional PIONEER study – TI, Livideanu CB, Álvarez-Twose I, Panse J, Barete S, Reiter A, Dybedal I, Akin C, Van Daele P, Radia DH, Cerquozzi S, Ustun C, Sabato V, Gotlib J,</p>	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

	<p>Rafferty M, DeAngelo DJ, Schafhausen P, Ungerstedt J, Ogbogu PU, Florell S, Wada DA, Rets A, Lin HM, Bidollari I, Hong J, Shaheen D, Lampson B, Hartmann K – Journal of the American Academy of Dermatology – 2026</p> <p>Chronic Anaphylaxis With Indolent Systemic Mastocytosis: A Case Report – Worth S, George TI, Shaheen DJ, Roche M, Vachhani P – Case Reports in Hematology – 2025</p> <p>Avapritinib versus Placebo in Indolent Systemic Mastocytosis – Gotlib J, Castells M, Elberink HO, et al. – NEJM Evidence – 2023</p> <p>Psychometric evaluation of the Indolent Systemic Mastocytosis Symptom Assessment Form (ISM-SAF) in a phase 2 clinical study – Padilla B, Shields AL, Taylor F, Li X, Mcdonald J, Green T, Borat AL, Lin HM, Akin C, Siebenhaar F, Mar B – Orphanet Journal of Rare Diseases – 2021</p>		
--	--	--	--

12 Igangsatte og planlagte studier

12.1 Er det pågående eller planlagte studier for legemiddelet innenfor samme indikasjon

Ja Nei

<p>som kan gi ytterligere informasjon i fremtiden?</p> <p><i>Hvis ja, oppgi forventet tidspunkt</i></p>	<p>Part 3 of PIONEER is an open-label extension phase where all patients received 25mg of avapritinib in combination with BSC, regardless of prior treatment Assignment. Primary completion (estimated): June 23rd, 2027</p>
<p>12.2 Er det pågående eller planlagte studier for legemiddelet for andre indikasjoner?</p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>Open label extension study in GIST (NCT04825574) Phase 1/2 study in pediatric patients with solid tumors with KIT or PDGFRA signaling (NCT04773782) Phase 2 study in CKIT or PDGFRA-altered locally advanced or metastatic malignant solid tumors (NCT04771520) Phase 2 study in CBF-AML with KIT mutations (NCT05821738) Phase 1 study of avapritinib in combination with decitabine in systematic mastocytosis with associated hematologic neoplasm (NCT06327685) Observational study in Chinese patients with GIST (NCT05381753) Observational study in France with longitudinal follow-up of PDGFRA D842V-GIST patients (NCT04927260) Phase 2 study evaluation of anti-cancer treatments targeting tumor molecular alterations in advanced and metastatic tumors (NCT04116541) Phase 2 study in pediatric patients with relapsed or refractory CBF-AML with KIT mutation (NCT06316960)</p>

<h3>13 Diagnostikk</h3>	
<p>13.1 Vil bruk av legemiddelet til anmodet indikasjon kreve diagnostisk test for analyse av biomarkør?</p> <p><i>Hvis ja, fyll ut de neste spørsmålene</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p>
<p>13.2 Er testen etablert i klinisk praksis?</p> <p><i>Hvis ja, testes pasientene rutinemessig i dag?</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Hvis ja, testes pasientene rutinemessig i dag?</p> <p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p>

13.3 Hvis det er behov for en test som ikke er etablert i klinisk praksis, beskriv behovet inkludert antatte kostnader/ressursbruk	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
--	---

<h2>14 Andre relevante opplysninger</h2>	
<p>14.1 Har dere vært i kontakt med fagpersoner (for eksempel klinikere) ved norske helseforetak om dette legemiddelet/indikasjonen?</p> <p><i>Hvis ja, hvem har dere vært i kontakt med og hva har de bidratt med?</i></p> <p><i>(Relevant informasjon i forbindelse med rekruttering av fageksperter i Nye metoder)</i></p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>Ingunn Dybedal, Oslo University Hospital.</p> <p>Used to validate local inputs for DMP HTA Dossier preparations.</p>
<p>14.2 Anser leverandør at det kan være spesielle forhold ved dette legemiddelet som gjør at en innkjøpsavtale ikke kan basere seg på flat rabatt for at legemiddelet skal kunne oppfylle prioriteringskriteriene?</p> <p><i>Hvis ja, begrunn kort.</i></p> <p><i>Hvis ja, skal eget skjema fylles ut og sendes til Sykehusinnkjøp HF samtidig med at dokumentasjon til metodevurdering sendes til Direktoratet for medisinske produkter.</i></p> <p><i>Nærmere informasjon og skjema:</i> Informasjon og opplæring - Sykehusinnkjøp HF</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>N/A</p>
14.3 Andre relevante opplysninger?	No.

Informasjon om Nye metoder finnes på nettsiden nyemetoder.no