

**Prüfplannummer:** BLU-285-2202

**EudraCT-Nummer:** 2017-004836-13

**Titel des Prüfplans:** Eine offene, einarmige Phase-II-Studie zur Beurteilung der Wirksamkeit und Sicherheit von Avapritinib (BLU-285), einem selektiven, auf KIT-Mutationen zielenden Tyrosinkinase-Inhibitor, bei Patienten mit fortgeschrittener systemischer Mastozytose

#### **ZWECK DIESER STUDIE**

Dies ist eine offene Studie der Phase II zur Untersuchung der Sicherheit und Wirksamkeit eines Prüfmedikaments namens Avapritinib (auch bekannt als BLU-285) bei Verabreichung an Personen mit aggressiver systemischer Mastozytose, systemischer Mastozytose mit assoziierter hämatologischer Neoplasie oder Mastzelleukämie. „Prüfmedikament“ bedeutet, dass noch nicht bekannt ist, ob dieses Medikament Patienten hilft, und dass das Medikament noch nicht verkäuflich ist. „Offen“ bedeutet, dass Sie und Ihr Prüfarzt wissen, dass Sie in dieser Studie Avapritinib erhalten. Eine Studie der Phase II bedeutet, dass das Prüfmedikament Avapritinib bereits bei Menschen eingesetzt wurde, jedoch weitere Forschung benötigt wird, um mehr über die Sicherheit und Wirkung des Prüfmedikaments zu erfahren.

Aggressive systemische Mastozytose, systemische Mastozytose mit assoziierter hämatologischer Neoplasie oder Mastzelleukämie (im Folgenden als systemische Mastozytose bezeichnet) sind Erkrankungen, bei denen sich abnorme Mastzellen in vielen Organen und im Knochenmark ansammeln und zu abnormer Organfunktion führen. Mastzellen sind eine Art weißer Blutkörperchen, die Teil des Immunsystems sind. Bei einer Zunahme der Anzahl oder bei abnormer Funktion setzen sie ihren Inhalt frei, was zu allergischen Reaktionen und anderen damit verbundenen Symptomen führt, die ebenfalls mit Mastozytose assoziiert sind.

#### **Beschreibung des Prüfmedikaments**

Avapritinib ist ein Prüfmedikament, das von Blueprint Medicines Corporation entwickelt wird, um alle Formen der Mastozytose zu behandeln. Es handelt sich dabei um ein Medikament, das als Tyrosinkinase-Inhibitor bezeichnet wird und richtet sich gegen ein Protein mit der Bezeichnung KIT, das bei mehr als 90 % der Patienten mit systemischer Mastozytose auffällig ist. Das Arzneimittel verringert das Wachstum abnormer Mastzellen, indem es dieses Protein angreift. Es ist ein orales Arzneimittel, das kontinuierlich einmal täglich in 28-tägigen Zyklen eingenommen wird. Die Anfangsdosis beträgt 200 mg einmal täglich.

Ungefähr zwei Drittel der mit Avapritinib behandelten Patienten sprachen in gewissem Maße an, wie die Besserung bei niedrigen Werten im Blutbild, eine Besserung bei Leberproblemen bzw. bei einer vergrößerten Milz und sie nahmen wieder an Gewicht zu. Durchschnittlich wird davon ausgegangen, dass aufgrund von systemischer Mastozytose mit Avapritinib behandelte Patienten sich nach mehreren Behandlungszyklen besser fühlen, insbesondere weniger müde sind sowie weniger Bauchschmerzen und weniger Übelkeit/Erbrechen verspüren. Bisher wurde noch nicht beurteilt, ob Avapritinib das Leben verlängert.

Es ist sehr wichtig, dass Sie mit dem Prüfarzt oder den Studienmitarbeitern sprechen, bevor Sie andere Medikamente während dieser Studie anwenden oder absetzen. Es gibt einige Medikamente, die Sie während dieser Studie nicht anwenden dürfen, und die Studienmitarbeiter werden mit Ihnen darüber sprechen. Sie werden gebeten, ein Tagebuch zu führen, um die Einnahme der Avapritinib-Dosen zu dokumentieren.

#### **WER NIMMT AN DIESER STUDIE TEIL?**

Patienten mit aggressiver systemischer Mastozytose, systemischer Mastozytose mit assoziierter hämatologischer Neoplasie oder Mastzelleukämie, die mindestens 18 Jahre alt sind und alle Eignungskriterien erfüllen, können teilnehmen. Ihr Prüfarzt wird diese Kriterien mit Ihnen durchgehen.

Die Studie wird an etwa 20 Prüfzentren in den Vereinigten Staaten, Kanada und Europa durchgeführt. Es werden voraussichtlich ungefähr 60 Patienten teilnehmen. Ihr Prüfarzt betreut die Studie an diesem Prüfzentrum. Sofern die Einschlusskriterien erfüllt sind, werden Patienten unabhängig von ihrem Geschlecht und ihrer ethnischen Herkunft oder Zugehörigkeit berücksichtigt. Die voraussichtliche Dauer dieser Studie beträgt ungefähr 54 Monate (4,5 Jahre), kann für den einzelnen Patienten aber auch kürzer oder länger sein.

## **WIE LANGE DAUERT MEINE TEILNAHME AN DER STUDIE, WENN ICH MICH FÜR EINE TEILNAHME ENTSCHEIDE?**

Sie können an der Studie teilnehmen, bis diese abgeschlossen ist, es sei denn, Ihre Erkrankung verschlechtert sich oder Sie haben Nebenwirkungen im Zusammenhang mit der Behandlung, die die Fortsetzung verhindern, oder falls Sie aus beliebigen anderen Gründen die Behandlung abbrechen möchten; Sie müssen die Studie nicht beenden.

Diese Studie besteht aus drei Teilen:

1. Voruntersuchung: Dieser Teil kann bis zu 8 Wochen dauern
2. Behandlung: Sie können die Studienbehandlung bis zum Abschluss fortsetzen, es sei denn, Ihre Erkrankung verschlechtert sich oder es treten Nebenwirkungen bei Ihnen auf, die einen Abbruch der Behandlung erfordern. Wenn sich Ihre Erkrankung nicht verschlechtert, können Sie für die gesamte Dauer der Studie teilnehmen.
3. Nachbeobachtung:
  - Wenn Sie die Studienbehandlung abbrechen, findet 14 Tage nach dem Abbruch ein Besuchstermin zum Behandlungsende statt.
  - 30 Tage nach Abbruch der Studienbehandlung werden Sie zur Kontrolle der Sicherheit von einem Mitarbeiter des Prüfzentrums angerufen, um Ihre Gesundheit und den Status aller gegebenenfalls anhaltenden Nebenwirkungen zu überprüfen.
  - Wenn Sie die Studie vor dem Fortschreiten Ihrer Erkrankung und vor Beginn einer anderen Behandlung abbrechen, wird Sie ein Mitarbeiter des Prüfzentrums zudem alle 24 Wochen kontaktieren, um Ihren Krankheitsstatus zu beurteilen.
  - Nachdem Sie die Studienbehandlung beendet haben, werden Sie alle 12 Wochen durch einen Mitarbeiter des Prüfzentrums kontaktiert, um Ihren Status zu beurteilen.

## **STUDIENERGEBNISSE**

Die Ergebnisse dieser Studie werden nach Abschluss der Studie zur Verfügung stehen. Wenn Sie die Ergebnisse einsehen möchten, wenden Sie sich bitte an Ihren Prüfarzt. Ihre Identität wird in keinen Berichten oder Veröffentlichungen preisgegeben.

Eine Beschreibung der klinischen Studie finden Sie unter <http://www.ClinicalTrials.gov>, wie in den USA gesetzlich vorgeschrieben. Auf dieser Website werden keine Informationen veröffentlicht, die Rückschlüsse auf Sie zulassen. Die Website wird allenfalls eine Zusammenfassung der Studie und der Ergebnisse enthalten, sobald diese verfügbar werden. Sie können diese Website jederzeit aufrufen.