

Gemeinsamer Bundesausschuss

Gutenbergstraße 13

10587 Berlin

23. Februar 2026

**Stellungnahme zur
Nutzenbewertung des G-BA von Arzneimitteln für seltene Leiden gemäß § 35a SGB V**

**Avapritinib
(Neubewertung Orphan >30 Mio: indolente systemische Mastozytose)**

**veröffentlicht am 2. Februar 2026
Vorgangsnummer 2024-10-01-D-1261
IQWiG Bericht Nr. 2180**

1. Zusammenfassung
2. Einleitung
3. Stand des Wissens
4. Dossier und Bewertung von Avapritinib (Ayvakyt®)
 4. 1. Zweckmäßige Vergleichstherapie
 4. 2. Studien
 4. 3. Endpunkte
 4. 3. 1. Überlebenszeit
 4. 3. 2. Morbidität
 4. 3. 2. 1. Symptomatik
 4. 3. 2. 2. Weitere Krankheitsparameter
 4. 3. 2. 3. Sicherheit
 4. 3. 2. 4. Lebensqualität
 4. 4. IQWiG Bericht
5. Kombinationstherapie
6. Diskussion
7. Literatur

1. Zusammenfassung

Dies ist die dritte Indikation für Avapritinib (Ayvakyt®). Das Verfahren der erneuten Nutzenbewertung wird nach Überschreiten der gesetzlich festgelegten Umsatzschwelle von >30 Mio. Euro durchgeführt. Avapritinib ist zugelassen zur Behandlung von Patientinnen und Patienten (Pat.) mit indolenter systemischer Mastozytose (ISM) und mittelschweren bis schweren Symptomen, bei denen mit einer symptomatischen Behandlung keine ausreichende Kontrolle erzielt werden kann. Avapritinib hat einen Orphan-Drug-Status. Der Bericht wurde vom G-BA erstellt. Einen Überblick über Vergleichstherapie und Bewertungsvorschläge gibt Tabelle 1.

Tabelle 1: Berechnung des Zusatznutzens durch pU und G-BA

	G-BA	Pharmazeutischer Unternehmer		IQWiG	
Subpopulationen	ZVT	Zusatznutzen	Ergebnissicherheit	Zusatznutzen	Ergebnissicherheit
-	• Cladribin • Peginterferon alpha-2a ± Prednison • Midostaurin • Best Supportive Care	beträchtlich	Hinweis	-	-

Unsere Anmerkungen sind:

- Die Indolente Systemische Mastozytose (ISM) ist eine seltene hämatologische Stammzellerkrankung mit systemischer Ausprägung. Standard der Therapie ist
 - Optimierung der symptomatischen Therapie einschl.
 - Glukokortikoide mit osteoprotektiver / osteoanaboler Therapie
 - ggf. Hyposensibilisierung bei Hymenopeteren-Allergie
 - Avapritinib bei persistierender Symptomatik.

Die festgelegte ZVT mit Cladribin, Peginterferon alpha-2 oder Midostaurin entspricht nicht unseren Empfehlungen und auch nicht den Zulassungsbestimmungen.

- Das jetzt vorgelegte Dossier enthält keine grundsätzlich neuen Daten gegenüber der vorhergehenden Nutzenbewertung.
- Basis der frühen Nutzenbewertung von Avapritinib ist die randomisierte Studie PIONEER. Die Randomisierung erfolgte 2:1 zugunsten des Verum-Arms. Primärer Endpunkt war die Veränderung des Total Symptom Scores, gemessen mit dem ISM-SAF Fragebogen.
- Avapritinib führte gegenüber Placebo zu einer signifikant stärkeren Reduktion der klinischen Symptomatik nach 24 Wochen und zur Verbesserung von Parametern der Lebensqualität. Die klinisch relevante Wirksamkeit zeigt sich in der kontinuierlichen Besserung des TSS im Verum-Arm und der Rate an Pat. mit signifikanter Linderung der Symptomlast, sowie dem raschen Angleichen der Verbesserung bei Pat., die aus dem Placebo- in den Verum-Arm übergangen.
- Der krankheitsmodulierende/kausale Effekt von Avapritinib wird durch eine signifikante Senkung der Serumtrypsinase, der KIT Mutationslast, der Knochenmarkinfiltration sowie durch die Rückbildung der Hautinfiltration.
- Die Raten schwerer Nebenwirkungen im CTCAE-Grad 3/4 waren in den beiden Studienarmen gleich. Die Therapieabbruchrate im Avapritinib-Arm aufgrund von unerwünschten Ereignissen lag bei 2,1%.
- Der IQWiG Bericht fokussiert auf den fehlenden Vergleich mit allen Elementen der ZVT. Die Problematik dieser Festlegung wird nicht diskutiert.

Avapritinib ist ein hochwirksames, oral applizierbares Arzneimittel zur symptomatischen Therapie der ISM. Avapritinib wird beim ISM in einer niedrigen Dosis eingesetzt.

2. Einleitung

Die Systemische Mastozytose (SM) ist eine seltene hämatologische Stammzellerkrankung [1]. Die WHO-Klassifikation 2022 unterscheidet die Subtypen indolente systemische Mastozytose (ISM), ‚Smoldering SM‘ (SSM), die neu definierte ‚Bone Marrow Mastocytosis‘ (BMM), aggressive systemische Mastozytose (ASM), systemische Mastozytose mit assoziierter hämatologischer Neoplasie (SM-AHN) und die Mastzellleukämie (MCL) [2]. In der Literatur werden angesichts von Klinik und Verlauf ISM, BMM und SSM als non-AdvSM zusammengefasst und ASM, SM-AHN und MCL als AdvSM [3].

3. Stand des Wissens

Standard bei Pat. mit ISM ist bisher eine Symptom-orientierte und rein supportive Therapie [1]. Ein relevanter Anteil der Pat. ist dabei aufgrund der Schwere der Mastzellmediator assoziierten Symptomatik genötigt, mehrere antihistaminerge und mastzellstabilisierende Therapien zu nutzen. Eine krankheitsmodulierende kausale Therapie existiert – abgesehen von der ebenfalls nicht zugelassenen IFN-Therapie – bisher nicht. In der Onkopedia Leitlinie wird Avapritinib bei Pat. mit indolenter systemischer Mastozytose (ISM) mit mittelschweren bis schweren Symptomen empfohlen, wenn mit einer symptomatischen Behandlung keine ausreichende Kontrolle erzielt werden kann.

Avapritinib ist ein niedermolekularer Hemmstoff, der für eine präferentielle Bindung an die aktive Konformation von KIT und PDGFRA entwickelt wurde. Avapritinib wurde im März 2022 für die EU zur Therapie von Pat. mit AdvSM in einer Startdosis von 200 mg/Tag tgl. zugelassen. Die Zulassung wurde im Dezember 2023 auf Pat. mit ISM erweitert. Die tgl. Dosis in dieser Indikation liegt bei 25 mg/Tag. Ergebnisse der Zulassungsstudien mit Avapritinib bei Pat. mit ISM sind in Tabelle 2 zusammengefasst.

Tabelle 2: Avapritinib bei der indolenten SM (ISM)

Studie	Pat.	Kontrolle	Neue Therapie	N ¹	TSS ²	Reduktion der Symptomatik ³	Serum-Tryptase ⁴	ÜL ⁵
PIONEER (BLU-285-2203), [4], Dossier	ISM	Placebo	Avapritinib	212	-9,2 vs -15,6 ⁶ p = 0,005	26,8 vs 38,3 p = 0,068	0 vs 54 p < 0,001	n. e. ⁷

¹ N – Anzahl Pat.; ² TSS – Total Symptom Score; ³ Reduktion der Symptomatik: Anteil der Pat. mit einer ≥ 15 %igen Reduktion der Skalenspannweite des ISM-SAF bis C7D1 in der ITT-Population, in %; ⁴ Reduktion der Serum-Tryptase um ≥50%, Rate in %;

⁵ ÜL – Gesamtüberlebenszeit in Monaten; ⁶ Ergebnis für Kontrolle, Ergebnis für Neue Therapie; ⁷ n. e. – nicht erhoben;

Avapritinib wurde in dieser Indikation von der FDA im Mai 2023, von der EMA im Dezember 2023 zugelassen.

4. Dossier und Bewertung von Avapritinib

4.1. Zweckmäßige Vergleichstherapie

Der G-BA hat diese ZVT festgelegt:

- Cladribin
- Peginterferon alpha-2a +/- Prednison
- Midostaurin

- Best Supportive Care

Standard bei diesen Pat. ist eine Symptom-orientierte und supportive Therapie. Die festgelegte ZVT mit Cladribin, Peginterferon alpha-2 oder Midostaurin entspricht nicht den Empfehlungen für die große Mehrzahl der Pat. mit indolenter Mastozytose. Diese sind:

- Optimierung der symptomatischen Therapie einschl. Antihistaminika/Mastzellstabilisatoren/Leukotrienantagonisten/Omalizumab u.a.
- Enteral wirksame oder systemische Glukokortikoide mit osteoprotektiver / osteoanaboler Therapie (osteoprotektive / osteoanabole Therapie auch wenn keine Steroide verabreicht werden, bedingt durch erhöhte Inzidenz von Osteoporose/-penie bei SM-Pat.
- ggf. lebenslange Hyposensibilisierung bei Hymenopeteren-Allergie
- Avapritinib bei persistierender Symptomatik trotz o.g. Therapien.

Cladribin, Peginterferon alpha und Midostaurin sind nicht für indolente Mastozytose zugelassen. Dies entspricht auch nicht den aktuellen NCCN Empfehlungen. Dort werden sie nur in besonderen Einzelfällen nach einer Avapritinibtherapie empfohlen. Die besonderen Nebenwirkungsprofile von Cladribin, Peginterferon alpha-2 oder Midostaurin erlauben oft auch keinen Einsatz bei der ISM, die keine maligne hämatologische Erkrankung darstellt.

Der Ansatz einer Placebo-kontrollierten Studie ist korrekt.

4. 2. Studien

Grundlage der Nutzenbewertung ist die Studie PIONEER. Sie bestand im Teil 1 aus einer randomisierten Phase-II-Studie mit 4 Armen zur Dosisfindung (25 mg, 50 mg, 100 mg). Teil 2 ist Basis des Dossiers. Die Randomisierung erfolgt 2:1 zugunsten des Verum-Armes. In Teil 3 wurden Pat. nach Abschluss von Teil 1 und Teil 2 aufgenommen. Hier fand ein Crossover von Pat. aus dem Placebo- in den Avapritinib-Arm statt.

Finaler Datenschnitt war der 23. Juni 2022.

Daten der Zulassungsstudie wurden publiziert [4].

4. 3. Endpunkte

4. 3. 1. Mortalität

Die Gesamtüberlebenszeit ist grundsätzlich ein relevanter Parameter, war aber kein primärer oder sekundärer Studienendpunkt. In PIONEER wurde in Teil 3 ein Crossover ermöglicht. Zum Zeitpunkt der Publikation hatten 26 Pat. aus dem Placebo-Arm in der Folge Avapritinib erhalten. Aktuelle Daten liegen nicht vor.

4. 3. 2. Morbidität

4. 3. 2. 1. Symptomatik

Zur Erfassung des Einflusses von Avapritinib auf die Symptomatik wurde der Total Symptom Score verwendet. Pat. mit unkontrollierter Symptomatik (Einschlusskriterium für die PIONEER Studie war ein TSS > 28) unter optimaler supportiver Therapie wurden in die Studie aufgenommen. Primärer Endpunkt war mittlere Veränderung des ISM-SAF Total Symptom Score (TSS) vom Ausgangspunkt bis zu Woche 24, in Protokoll und Dossier als C7D1 bezeichnet.

Avapritinib führte zu einer signifikanten Senkung der Symptomlast mit **-9,3** vs **-16,8** ($p = 0,002$) in der per Protokoll behandelten Patientenpopulation.

Weitere Auswertungen im Dossier analysieren die Rate von Pat. mit signifikanter Senkung der Symptomlast. Auch hier zeigen sich deutliche Unterschiede, aber nicht auf dem Niveau eines p-Wertes $<0,05$.

4. 3. 2. 2. Weitere Krankheitsparameter

Tryptase

Ein geeigneter objektivierbarer Laborparameter zur Bestimmung und zum Monitoring der Krankheitsaktivität ist die Serumtryptase. Diese korreliert allerdings im Hinblick auf die erhobenen Absolutwerte nicht mit der Symptomschwere. Pat., die unter Avapritinibtherapie einen Abfall der Serumtryptase aufweisen, zeigen allerdings eine korrelierende Symptomlastreduktion. Die Serumtryptase wurde durch Avapritinib signifikant gesenkt.

KIT D816V Mutationslast

In der Avapritinibgruppe wurde im Vergleich zu Placebo ein relevanter Abfall der *KIT* D816V Mutationslast im peripheren Blut um $\geq 50\%$ bis Woche 24 erreicht (68% vs 6%).

Knochenmarkinfiltration

Eine entsprechende Reduktion der Knochenmarkinfiltration durch Mastzellen um $\geq 50\%$ bis zum Zeitpunkt Woche 24 wurde im Avapritinib-Arm ebenfalls häufiger erreicht als im Placebo-Arm (53% vs 23%).

Die letztgenannten Daten entsprechen einer relevanten Krankheitsmodulation durch Avapritinib. Dies wird noch klarer durch die Reduktion der Mutationslast nachgewiesen, da bei ISM häufig eine sehr geringe KM-Infiltration besteht, die einen longitudinalen Vergleich im Hinblick auf eine relevante Mastzellreduktion erschwert. Die bisherige Dauer der Nachbeobachtungszeit lässt dabei allerdings noch keinen Schluss im Hinblick auf weitere klinisch relevante Krankheitsparameter wie Entwicklung von Osteoporose-/penieoder Übergang in eine fortgeschrittenere SM Form (SSM, AdvSM) zu.

4. 3. 2. 3. Sicherheit

Nebenwirkungen im CTCAE Grad 3/4 traten in beiden Studienarmen gleich häufig auf (21,3 vs 21,1%). Die häufigsten Nebenwirkungen waren Rötung (Hitzewallungen), Ödeme, Schlafstörungen und eine erhöhte alkalische Phosphatase. Die Abbruchrate aufgrund von Nebenwirkungen lag unter Avapritinib bei 2,1% gegenüber 1,4% im Placebo-Arm.

4. 3. 2. 4. Lebensqualität

Daten zur Lebensqualität wurden mit dem generischen SF-12-Fragebogen und dem Mastozytose-spezifischen Instrument MC-QoL erhoben. Im SF-12 fanden sich Unterschiede bei physischen und mentalen Faktoren, die Unterschiede waren deutlicher im Avapritinib-Arm.

Im MC-QoL fanden sich signifikante Unterschiede zugunsten von Avapritinib bei allen Items einschl. körperlicher Symptomatik, sozialem Leben, psychischen Faktoren und Emotionen.

4. 4. Bericht des IQWiG

Der Bericht des G-BA fokussiert auf die ZVT. Die festgelegte ZVT mit Cladribin, Peginterferon alpha und Midostaurin entspricht nicht den deutschen, europäischen und amerikanischen Therapieempfehlungen und wird als Therapieoption nur für einzelne Pat. und Patientinnen mit Mastozytose in Ausnahmefällen in den jeweiligen Leitlinien aufgeführt. Die "Fortführung einer unzureichenden BSC bei bestehenden Eskalationsmöglichkeiten mit Cladribin, Peginterferon alpha-2a ± Prednison und Midostaurin im

Rahmen der PIONEER Studie, wie vom G-BA gefordert („Umsetzung der zweckmäßigen Vergleichstherapie“) wäre im Rahmen einer randomisierten Studie nicht möglich, da alle drei aufgeführten Therapien keinen Zulassungsstatus haben.

5. Kombinationstherapie

Avapritinib wird als Monotherapie eingesetzt.

6. Diskussion

Die indolente systemische Mastozytose (ISM) ist eine aufgrund der Mastzellmediator vermittelten Symptomatik bei einem relevanten Patientenanteil sehr belastende Erkrankung, die zu einer deutlichen Reduktion der Lebensqualität und Einschränkungen im psychosozialen Bereich führen kann. Deshalb ist ein Studiendesign mit dem primären Endpunkt der Reduktion der Symptomlast sehr zu begrüßen. Objektiv messbare Parameter wie Tryptasereduktion korrelieren nicht eng mit der Symptomausprägung. Die Auswirkungen/Korrelationen einer Mutationslastreduktion, oder die Reduktion des Knochenmarkbefalls durch Mastzellen wurden zuvor durch vorhandene Therapieoptionen in dem dargestellten Ausmaß wie unter Avapritinib nicht beschrieben und konnten somit erst im Rahmen der vorliegenden Studie adäquat bewertet werden. Die klinisch relevante Reduktion der Belastung durch die ISM-assoziierten Symptome konnte in der Studie mittels eines standardisierten Fragebogens, der die verschiedenen Bereiche der Symptome (gastrointestinale Beschwerden, Hautsymptome, neurologisch/psychiatrische Beschwerden, Knochenbeschwerden) beleuchtet hat, gezeigt werden. Durch die häufig fehlende Korrelation objektiver Krankheitsparameter mit der Symptomlast, die für einige Pat. mit einer massiven Einschränkung der Lebensqualität inklusive sozialer Isolation und Arbeitsunfähigkeit einhergehen kann, ist ein entsprechender Fokus auf eine Symptomverbesserung essentiell. Gleichzeitig ist die Objektivierbarkeit des Ansprechens dadurch erschwert. Dieser Problematik wird durch das Doppelblind-Studiendesign Rechnung getragen. Tatsächlich zeigte sich zu Beginn der Therapie sowohl im Placebo- als auch im Verum-Arm eine Reduktion der Symptomlast, die aber im weiteren Verlauf auf den Verum-Arm begrenzt bleibt und sich kontinuierlich im Sinne einer Symptomverbesserung mit zunehmender Dauer der Therapie weiter bessert. Zudem zeigt sich nach Switch aus dem Placebo- in den Verum-Arm ebenfalls eine rasche und anhaltende Symptomlastverbesserung, die sich der von Beginn an im Verum-Arm befindlichen Studienteilnehmer angleicht.

Die objektivierbaren sekundären Endpunkte Tryptasereduktion, Abfall der Knochenmarkinfiltration und der KIT Allellast wurden in der Studie ebenfalls erreicht. Durch die vergleichsweise niedrigen Ausgangswerte der einzelnen Parameter im Vergleich zur fortgeschrittenen SM ist eine Reduktion schneller erreichbar als in der Zulassungsstudie bei der fortgeschrittenen Erkrankung. Hier bleibt zum aktuellen Zeitpunkt die Frage offen, ob eine Reduktion eines dieser Parameter eine entsprechende klinische Relevanz zeigt, da die Symptomlast häufig nicht mit diesen Parametern assoziiert ist. Der erkrankungsmodulierende Effekt im Sinne einer Mastzellreduktion könnte sich allerdings langfristig positiv auf langfristige Komplikationen der ISM wie Osteoporose und/oder Hypenopteraallergien auswirken.

Eine komplette, dauerhafte Remission der Erkrankung erscheint mit der vorliegenden Therapie nicht möglich, eine Dauertherapie erscheint daher notwendig. Aus den vorliegenden Studiendaten lassen sich keine Daten zur Langzeittoxizität ableiten, die bei potentiell normaler Lebenserwartung jedoch wünschenswert wären.

Potentiell lebensbedrohlich ist das Erleiden von anaphylaktischen Reaktionen bei Pat. mit ISM, somit stellt die Prävention von anaphylaktischen Ereignissen einen wichtigen Punkt dar. Neben der Vermeidung von Triggerfaktoren gibt es derzeit kein Medikament, welches entsprechende Ereignisse sicher vermeiden kann. Die Zulassungsstudie war diesbezüglich ebenfalls nicht gepowert, was die Frage offenlässt, ob eine entsprechende Behandlung mit Avapritinib diese schwerwiegende Krankheitskomplikation reduzieren kann, s.o.

Osteoporotische Sinterungsfrakturen stellen bei der ISM eine ebenfalls häufig folgenreiche Komplikation dar, die bisherige Prävention liegt in einer regelmäßigen Überprüfung der Knochendichte sowie, im Falle einer reduzierten Knochendichte, der Gabe von Vitamin D und osteoanabolen/antiresorptiven Therapien. Pathophysiologisch ist u.a. eine Degranulation von Mastzellen im Knochenmark für die Verminderung der Knochendichte verantwortlich, genau ist der pathophysiologische Prozess noch nicht entschlüsselt. Auch hier gibt es bisher keine Daten in Manuskriptform zum Nutzen der Avapritinibtherapie in diesem Kontext, es existieren bisher lediglich Daten in Abstraktform, die z.B. eine Besserung der osteodensitometrisch erfassten Parameter unter Avapritinib zeigen, so dass auch diese Komplikation durch die zielgerichtete Medikation bislang nicht sicher adressiert wird, s.o.

Ein relevanter Anteil symptomatischer Pat. mit ISM kann durch die Gabe antihistaminergener Basistherapeutika (H1/H2-Blocker, Mastzellstabilisatoren wie Cromoglycinsäure oder Ketotifen) oder durch die Hinzunahme von topischen oder systemischen Steroide suffizient behandelt werden. Die Dosis der dabei verwendeten Basistherapeutika überschreitet dabei häufig die verschreibungsfähige Dosis, auch wird in seltenen Fällen eine Rotation der Medikation durch Tachyphylaxie notwendig. Gleichzeitig bleibt ein Teil der Pat. beschwerdebehaftet, nicht selten dadurch auch arbeitsunfähig. Die suffiziente und dauerhafte Reduktion von stark einschränkenden klinischen Symptomen wie z.B. paroxysmale häufige Diarrhoen und Lebensmittelunverträglichkeiten, sowie ggf. eine Wiedereingliederung in die Arbeitswelt bei hochsymptomatischen Pat. ist daher ein erstrebenswertes Ziel für dieses Patientenkollektiv. Die Belastung von Patienten durch den Hautbefall und damit assoziierte Symptome wie Flush, Juckreiz u.a. wird durch Avapritinib ebenfalls eindrucksvoll gebessert. Durch die Zulassung von Avapritinib bei der ISM wird diesem Zustand Rechnung getragen. Eine Eradikation der Erkrankung ist nach bisherigen Daten durch die Therapie nicht möglich, so dass eine Dauertherapie häufig notwendig ist. Auch wenn weitere erstrebenswerte therapeutische Ziele bisher nicht sicher durch die Medikation adressiert werden konnten, sehen wir in der Gesamtschau einen relevanten Nutzen der Behandlung von Pat. mit ISM, die unter einer – z. T. sehr polypharmazeutischen – Therapie keine adäquate Symptomreduktion oder –freiheit erreichen.

Avapritinib ist ein hochwirksames, oral applizierbares Arzneimittel zur symptomatischen und krankheitsmodifizierenden Therapie der ISM. Avapritinib wird beim ISM in einer niedrigen Dosis eingesetzt.

7. Literatur

1. Arber DA, Orazi A, Hasserjian RP, et al. International Consensus Classification of Myeloid Neoplasms and Acute Leukemias: integrating morphologic, clinical, and genomic data. *Blood*. 2022;140(11):1200-28. [DOI:10.1182/blood.2022015850](https://doi.org/10.1182/blood.2022015850)
2. Khoury JD, Solary E, Abla O, et al. The 5th edition of the World Health Organization Classification of Haematolymphoid Tumours: Myeloid and Histiocytic/Dendritic Neoplasms. *Leukemia*. 2022;36(7):1703-19. [DOI:10.1038/s41375-022-01613-1](https://doi.org/10.1038/s41375-022-01613-1)
3. Valent P, Akin C, Hartmann K, et al. Updated Diagnostic Criteria and Classification of Mast Cell Disorders: A Consensus Proposal. *Hemasphere* 2021;5(11):e646. [DOI:10.1097/HS9.0000000000000646](https://doi.org/10.1097/HS9.0000000000000646)
4. Valent P, Akin C, Sperr WR, et al. New Insights into the Pathogenesis of Mastocytosis: Emerging Concepts in Diagnosis and Therapy. *Annu Rev Pathol*. 2023;18:361-86. [DOI:10.1146/annurev-pathmechdis-031521-042618](https://doi.org/10.1146/annurev-pathmechdis-031521-042618)
5. Erben P, Schwaab J, Metzgeroth G, et al. The KIT D816V expressed allele burden for diagnosis and disease monitoring of systemic mastocytosis. *Ann Hematol*. 2014;93(1):81-8. [DOI:10.1007/s00277-013-1964-1](https://doi.org/10.1007/s00277-013-1964-1)

6. Schwaab J et al.: Systemische Mastozytose, ONKOPEDIA, Januar 2024.
<https://www.onkopedia.com/de/onkopedia/guidelines/mastozytose-systemische/@@guideline/html/index.html>
7. Gotlib J, Castells M, Elberink HO et al.: Avapritinib versus Placebo in Indolent Systemic Mastocytosis. NEJM Evid Jun 2023. DOI: [10.1056/EVIDoa2200339](https://doi.org/10.1056/EVIDoa2200339)

Stellungnehmer

Die Stellungnahme wurde von Prof. Dr. Bernhard Wörmann in Kooperation mit PD Dr. Jens Panse (Universitätsklinikum RWTH Aachen, Medizinische Klinik IV, Aachen), Prof. Dr. Andreas Reiter und PD Dr. Juliana Schwaab (Universitätsmedizin Mannheim, Medizinische Fakultät der Universität Heidelberg, III. Medizinische Klinik Hämatologie und Onkologie, Mannheim) erarbeitet.