

# Literaturübersicht Systemische Mastozytose

(Stand Nov. 2024; links zuletzt abgerufen am: 03.12.2024)

Wenn Sie interessiert an weiteren Informationen zum Thema Systemische Mastozytose (SM) sind, finden Sie auf den folgenden zwei Seiten eine kurze Übersicht mit relevanten Publikationen:

## Übersicht zur SM bei Erwachsenen und aktuelle Diagnosekriterien

- Pardanani A (2023) **Systemic mastocytosis in adults: 2023 update on diagnosis, risk stratification and management**, Am J Hematol 2023 Jul;98(7):1097-1116 DOI: [10.1002/ajh.26962](https://doi.org/10.1002/ajh.26962)
  - gibt eine gute und aktuelle Übersicht zur Erkrankung bei Erwachsenen Patienten und Diagnosekriterien
- **Thieme Praxisreport zur zielgerichteten Therapie mit AIVAKYT®** (2024) <https://lp.thieme.de/emag/CP/12017-Praxis-Report-Ayvakyat-2024/>
  - das interdisziplinäre Herausgeberteam um Prof. Marcus Maurer, Charite Berlin (Dermatologie und Allergologie) und Frau Dr. Deborah Christen, UK Aachen (Hämatologie) fasst für Sie Expertenwissen zu Ursache, Symptomen und Diagnose sowie zu den Behandlungsmöglichkeiten der Systemischen Mastozytose kompakt zusammen
- **Die aktuelle Onkopedia- Leitlinie**, Schwaab, J et al. (2023) „Mastozytose, Systemische“ der DGHO (Deutsche Gesellschaft für Hämatologie und Medizinische Onkologie e.v.) <https://www.onkopedia.com/de/onkopedia/guidelines>
  - zeigt eine vollständige Übersicht zum klinischen Bild, der Diagnostik und Therapie der systemischen Mastozytose (Sicht der Hämatologie)
- **Das Positionspapier der AeDA**, Siebenhaar et al. (2025) „Mastozytose im Zeitalter der Präzisionsmedizin – Positionspapier des Ärzteverbandes Deutscher Allergologen (AeDA) zum Management der indolenten systemischen Mastozytose“ <https://link.springer.com/article/10.1007/s15007-025-6465-8>
  - Eine aktuelle und gut verständliche Übersicht zur Erkrankung, Diagnose und Therapie der (Indolenten) Systemischen Mastozytose inklusive link zum Aeda Dokumentationsbogen ISM/Avapritinib

## Daten zur Symptomlast, Erfahrungen und Lebensqualität von Patienten mit SM / Mastzellerkrankungen

- Jennings S et al. (2018) **Patient Perceptions in Mast Cell Disorders**, Immunol Allergy Clin North Am. 2018 Aug;38(3):505-525 DOI: [10.1016/j.iac.2018.04.006](https://doi.org/10.1016/j.iac.2018.04.006)
  - beschreibt die Vielzahl der möglichen Trigger und Symptome bei SM sowie anderen Mastzellerkrankungen und gibt einen Überblick über die oftmals lange Zeit bis zur Diagnose. Hier findet sich die erste Publikation zur z.T. erheblich eingeschränkten Lebensqualität und die Beleuchtung der Erkrankung aus Patientensicht;
- Mesa R et al. (2022) **Perceptions of patient disease burdens and management approaches in systemic mastocytosis: Results of the TouchStone Healthcare Provider Survey**, Cancer 2022 Oct;128(20):3700-3708 DOI: [10.1002/cncr.34421](https://doi.org/10.1002/cncr.34421)

- untersuchte die Wahrnehmung und die Behandlungsstrategien von SM-Erkrankungen in den USA und lieferte weitere Daten zur Symptomlast und Einschränkungen des Alltags Betroffener;
- Berezowska S et al. (2014) **Adult-onset mastocytosis in the skin is highly suggestive of systemic mastocytosis**, Mod Pathol. 2014 Jan;27(1):19-29 DOI: [10.1038/modpathol.2013.117](https://doi.org/10.1038/modpathol.2013.117)
  - Zeigten, dass eine Kutane Mastozytose bei Erwachsenen mit hoher Wahrscheinlichkeit (97%) eine Systemische Mastozytose ist und es sinnvoll ist diese Patienten weiter zu untersuchen z.B. auf eine *KIT* D816V Mutation;

### Therapie mit Avapritinib bei Indolenter Systemischer Mastozytose (ISM)

AVVAKYT ist zur Behandlung erwachsener Patienten mit indolenter systemischer Mastozytose (ISM) mit mittelschweren bis schweren Symptomen indiziert, bei denen mit einer symptomatischen Behandlung keine ausreichende Kontrolle erzielt werden kann.

- Gotlib J et al. (2023) **Avapritinib versus Placebo in Indolent Systemic Mastocytosis**, NEJM Evid. 2023 Jun;2(6) EVIDoa2200339 DOI: [10.1056/EVIDoa2200339](https://doi.org/10.1056/EVIDoa2200339);
  - Daten aus der Zulassungsstudie (PIONEER) für ISM
- Castells et al. (2025) **Continued symptom and quality of life improvement with favorable safety shown with long-term avapritinib in indolent systemic Mastocytosis**, J Allergy Clin Immunol Pract. 2025 (in press) DOI: <https://doi.org/10.1016/j.jaip.2025.05.026>
  - 2-Jahres Follow-Up Daten der PIONEER-Studie

### Therapie mit Avapritinib bei Fortgeschrittener Systemischer Mastozytose (AdvSM)

AVVAKYT ist als Monotherapie zur Behandlung erwachsener Patienten mit aggressiver systemischer Mastozytose (ASM), systemischer Mastozytose mit assoziierter hämatologischer Neoplasie (SM-AHN) oder Mastzellleukämie (MCL) nach zumindest einer systemischen Therapie indiziert.

- Gotlib J et al. (2021) **Efficacy and safety of avapritinib in advanced systemic mastocytosis: interim analysis of the phase 2 PATHFINDER trial**, Nat Med. 2021 Dec;27(12):2192-2199 DOI: [10.1038/s41591-021-01539-8](https://doi.org/10.1038/s41591-021-01539-8)
  - Daten aus der PATHFINDER-Studie, Wirksamkeit und Sicherheit (Phase II Trial)
- Reiter A et al (2022) **Efficacy and safety of avapritinib in previously treated patients with advanced systemic mastocytosis**, Blood Adv. 2022 Nov 8;6(21):5750-576 DOI: [10.1182/bloodadvances.2022007539](https://doi.org/10.1182/bloodadvances.2022007539)
  - fasst die Daten von Patienten mit SM aus den Zulassungsstudien für AdvSM zusammen, die mindestens eine Vortherapie erhalten haben und mit 200 mg Avapritinib eingestellt wurden, so wie es der EU-Zulassung entspricht