

Rapport succinct d'autorisation du 29.12.2025

Pemazyre® (principe actif : pemigatinib)

Extension de l'indication en Suisse : 24.07.2025

Comprimé indiqué en monothérapie pour le traitement des adultes atteints de néoplasies myéloïdes/lymphoïdes (NMLs) en rechute ou réfractaires avec réarrangement du FGFR1

À propos du médicament

Le principe actif de Pemazyre est le pemigatinib.

Ce médicament est utilisé pour traiter les adultes atteints de néoplasies myéloïdes/lymphoïdes (NMLs) en rechute (réapparition de la maladie après un précédent traitement) ou réfractaires (échec des traitements antérieurs). Ce type rare de cancer affecte les cellules sanguines appelées cellules myéloïdes et lymphoïdes, qui produisent une forme anormale de la protéine FGFR1 (récepteur 1 du facteur de croissance des fibroblastes).

Ce cancer étant une maladie rare, le médicament a été autorisé en tant que médicament orphelin (Orphan Drug). Les médicaments orphelins sont des médicaments importants contre des maladies rares.

Pemazyre avait déjà été autorisé par Swissmedic le 13.07.2021 en tant que traitement de deuxième ligne des adultes atteints d'un cholangiocarcinome (cancer des voies biliaires) dont les cellules cancéreuses présentent une forme anormale de la protéine du FGFR2.

Action

Pemazyre appartient à un groupe de médicaments anticancéreux appelés « inhibiteurs de la tyrosine kinase ». Il bloque dans la cellule l'action de protéines appelées « récepteurs du facteur de croissance des fibroblastes de types 1, 2 et 3 » (FGFR1, FGFR2 et

FGFR3) qui aident à réguler la croissance cellulaire. Les cellules cancéreuses peuvent présenter une forme anormale de cette protéine. En bloquant le FGFR, le pemigatinib peut empêcher la croissance de ces cellules cancéreuses.

Administration

Pemazyre est soumis à ordonnance.

Pemazyre est pris sous forme de comprimés disponibles aux dosages de 4,5 mg, 9 mg et

13,5 mg. La posologie recommandée pour le traitement des néoplasies myéloïdes/lymphoïdes est de 13,5 mg de pemigatinib une fois par jour.

Efficacité

L'efficacité de Pemazyre a été évaluée dans l'étude FIGHT-203 chez des patientes et patients adultes atteints de néoplasies myéloïdes/lymphoïdes (NMLs) avec réarrangement du FGFR1.

Les 45 patientes et patients ont reçu Pemazyre soit selon un régime de traitement intermittent (une fois par jour pendant 14

jours suivis de 7 jours d'arrêt du traitement), soit selon un régime de traitement continu.

Le principal critère d'évaluation de l'efficacité était l'atteinte d'une rémission complète¹ (réponse complète (RC)). Les résultats ont montré un taux de réponse complète de 68,9 % parmi ces patientes et patients.

Précautions, effets indésirables et risques

La préparation Pemazyre ne doit pas être utilisée en cas d'hypersensibilité au principe actif ou à l'un de ses excipients.

Lors de la prise de Pemazyre, la prudence est de mise en particulier chez les patientes et patients présentant une augmentation ou une diminution du taux de phosphate sanguin, car ce médicament peut provoquer une hyperphosphatémie ou une hypophosphatémie. Une surveillance régulière du taux de phosphate sanguin doit être assurée pendant toute la durée du traitement.

Pemazyre peut également causer un décollement séreux rétinien (troubles de la vision, vision d'éclairs de lumière ou de taches sombres).

Les effets indésirables les plus fréquents (observés chez plus de 10 % des patientes et pa-

tients) sont les suivants : hyperphosphatémie, hypophosphatémie, décollement séreux rétinien, diarrhée, alopecie (chute importante de cheveux), altérations des ongles, stomatite (plaies dans ou autour de la bouche), constipation, sécheresse buccale, fatigue, diminution de l'appétit, nausées, dysgueusie (troubles du goût), douleurs abdominales, sécheresse oculaire, arthralgie (douleurs articulaires), sécheresse cutanée, anémie, syndrome d'érythrodysesthésie palmo-plantaire (gonflement, rougeur ou desquamation de la peau) et augmentation de la créatinine sanguine.

Toutes les précautions applicables ainsi que les risques et les autres effets indésirables possibles sont énumérés dans l'information destinée aux patients (notice d'emballage) ainsi que dans l'information professionnelle.

Justification de la décision d'autorisation

Aucune option thérapeutique n'est actuellement autorisée et disponible en Suisse pour les patientes et patients adultes atteints de néoplasies myéloïdes ou lymphoïdes (appe-

lés NMLs) en rechute ou réfractaires aux traitements standard avec altération du récepteur 1 du facteur de croissance des fibroblastes (FGFR1). Ce cancer rare se caractérise par une évolution souvent agressive, avec un

¹ Rémission : Par rémission clinique, on entend une atténuation durable ou transitoire des symptômes d'une maladie, sans qu'une guérison ne soit atteinte.

risque élevé de progression rapide vers une leucémie aiguë. D'où le besoin urgent en approches thérapeutiques nouvelles et efficaces.

Dans les études cliniques, une partie des patientes et patients traités avec Pemazyre ont atteint des rémissions complètes. Les résultats ont en outre mis en évidence une efficacité du régime de traitement continu supérieure à celle du régime intermittent. Dans l'étude FIGHT-203, le régime de traitement continu a été le plus fréquemment appliqué et le profil de sécurité a été jugé acceptable.

Aussi le régime de traitement intermittent n'a-t-il pas été autorisé.

Au vu des données disponibles, et lorsque tous les risques et l'ensemble des mesures de précaution à respecter sont pris en considération, les bénéfices offerts par Pemazyre sont supérieurs aux risques. Swissmedic a par conséquent autorisé pour la Suisse l'extension d'indication pour le médicament Pemazyre, qui a pour principe actif le pemigatinib, en monothérapie pour le traitement des adultes atteints de néoplasies myéloïdes/lymphoïdes (NMLs) en rechute ou réfractaires avec réarrangement du FGFR1.

Informations complémentaires sur le médicament

Information pour les personnes exerçant une profession médicale : [Information professionnelle de la préparation Pemazyre®](#)

Information destinée aux patients (notice d'emballage) : [Information destinée aux patients de Pemazyre®](#)

Les professionnels de santé sont là pour répondre à toute autre question.

Les présentes informations sont basées sur les informations disponibles à la date de publication du SwissPAR. Les nouvelles connaissances concernant le médicament autorisé ne sont pas intégrées dans le rapport succinct d'autorisation.

Les médicaments autorisés en Suisse sont sous la surveillance de Swissmedic. Swissmedic prendra les mesures qui s'imposent en cas de constatation de nouveaux effets indésirables ou en présence d'autres signaux de sécurité. De plus, Swissmedic recensera et publiera toute nouvelle connaissance susceptible d'affecter la qualité, l'efficacité ou la sécurité d'emploi de ce médicament. Au besoin, l'information sur le médicament sera adaptée.