

Rapporto sintetico di omologazione del 29.12.2025

Pemazyre® (principio attivo: pemigatinib)

Estensione dell'indicazione in Svizzera: 24.07.2025

Compresa indicata in monoterapia per il trattamento di adulti affetti da neoplasie mieloidi/linfoidi (NML) recidivanti o refrattarie con riarrangiamento di FGFR1

Informazioni sul medicamento

Pemazyre contiene il principio attivo pemigatinib.

Viene usato per il trattamento di adulti affetti da neoplasie mieloidi/linfoidi (in sigla NML), un raro tipo di cancro che colpisce alcune cellule del sangue, le cosiddette cellule mieloidi e linfoidi, e che è accompagnato da un'anomala espressione della proteina FGFR1 (recettore 1 del fattore di crescita dei fibroblasti), nel caso in cui la malattia si sia ripresentata dopo un precedente trattamento (recidivante) o non abbia risposto alle terapie utilizzate (refrattaria).

Poiché si tratta di una malattia tumorale rara, il medicamento è stato omologato come «medicamento orfano». Sono definiti «orfani» i medicinali importanti per malattie rare.

Il 13.07.2021 Pemazyre era già stato omologato da Swissmedic per la Svizzera come terapia di seconda linea per il trattamento di adulti affetti da colangiocarcinoma (cancro delle vie biliari) le cui cellule tumorali presentano una forma anomala della proteina FGFR2.

Meccanismo d'azione

Pemazyre appartiene a un gruppo di medicinali antitumorali denominati «inibitori della tirosin-chinasi». Esso blocca l'azione di proteine cellulari denominate «recettori del fattore di crescita dei fibroblasti di tipo 1, 2

e 3» (FGFR1, FGFR2 e FGFR3) che regolano la crescita cellulare. Le cellule tumorali possono avere una forma anomala di questa proteina. Bloccando l'FGFR, il pemigatinib è in grado di impedire la crescita di tali cellule tumorali.

Impiego

Pemazyre è soggetto a prescrizione medica. Pemazyre viene assunto sotto forma di compresse, che sono disponibili nei dosaggi da

4,5 mg, 9 mg e 13,5 mg. Il dosaggio raccomandato per il trattamento delle neoplasie mieloidi/linfoidi è di 13,5 mg una volta al giorno.

Efficacia

L'efficacia di Pemazyre in pazienti adulte/i con neoplasie mieloidi/linfoidi (NML) con espressione anomala di FGFR1 è stata valutata nello studio FIGHT-203.

I 45 pazienti hanno ricevuto Pemazyre dopo un programma di assunzione intermittente

(14 giorni di assunzione seguiti da 7 giorni di pausa) o continuativo.

L'obiettivo primario dello studio era il raggiungimento di una remissione¹ completa (complete response, CR). I risultati hanno mostrato un tasso di CR del 68,9 % tra le/i pazienti.

Misure precauzionali, effetti indesiderati e rischi

Pemazyre non deve essere usato in caso di ipersensibilità al principio attivo o a una qualsiasi delle sostanze ausiliarie.

Si raccomanda cautela nell'assunzione di Pemazyre, in particolare in pazienti con livelli elevati o bassi di fosfato nel sangue, poiché il medicamento può causare iperfosfatemia o ipofosfatemia. I livelli di fosfato nel sangue devono essere monitorati regolarmente durante il trattamento.

Inoltre, Pemazyre può anche causare un distacco sieroso della retina (disturbi della vista, lampi di luce o macchie scure).

Gli effetti indesiderati più comuni (riguardano più del 10 % di tutti i pazienti) sono iperfosfatemia, ipofosfatemia, distacco sieroso della retina, diarrea, alopecia (eccessiva

perdita di capelli), alterazioni delle unghie, stomatite (piaghe all'interno o intorno alla bocca), stipsi, bocca secca, stanchezza, appetito ridotto, nausea, disgeusia (disturbi del gusto), dolore addominale, occhi secchi, artralgia (dolori articolari), cute secca, anemia, sindrome da eritrodismetesi palmo-plantare (gonfiore, arrossamento o desquamazione della pelle) e aumento della creatinina nel sangue.

Tutte le misure precauzionali, i rischi e altri possibili effetti indesiderati sono elencati nell'informazione destinata alle/ai pazienti (foglietto illustrativo) e nell'informazione professionale.

Motivazione della decisione di omologazione

In Svizzera non sono attualmente disponibili opzioni di trattamento omologate per pazienti adulti affetti da neoplasie mieloidi o linfoidi (NML) con alterazione del recettore 1 del fattore di crescita dei fibroblasti

(FGFR1) recidivanti o refrattarie alle terapie standard. Questa rara malattia tumorale è in genere aggressiva e può evolvere rapidamente in una leucemia acuta. Ciò sottolinea

¹ Remissione: nella remissione clinica i sintomi della malattia diminuiscono temporaneamente o anche permanentemente, senza che si raggiunga una guarigione.

l'urgente necessità di nuovi ed efficaci approcci terapeutici.

Negli studi clinici le/i pazienti trattate/i con Pemazyre hanno raggiunto remissioni complete. I risultati hanno dimostrato che il programma di assunzione continuativa è stato più efficace del programma di assunzione intermittente. Nello studio FIGHT-203, il programma di somministrazione continuativa è stato quello maggiormente utilizzato e il profilo di sicurezza è stato valutato come accettabile. Il programma di assunzione intermittente non è stato pertanto omologato.

Tenendo conto di tutti i rischi e di tutte le misure precauzionali, e sulla base dei dati disponibili, i benefici di Pemazyre superano i rischi. Swissmedic ha quindi omologato l'estensione dell'indicazione per il medicamento Pemazyre contenente il principio attivo pemigatinib per la Svizzera come monoterapia per il trattamento di adulti affetti da neoplasie mieloidi/linfoidi (NML) recidivanti o refrattarie con riarrangiamento di FGFR1.

Maggiori informazioni sul medicamento

Informazione per il personale medico-sanitario: [informazione professionale di Pemazyre®](#)

Informazione destinata alle/ai pazienti (foglietto illustrativo): [informazione destinata ai pazienti di Pemazyre®](#)

Per altre domande, rivolgersi alle/ai professioniste/i della salute.

Lo stato di questa informazione corrisponde a quello dello SwissPAR. Le nuove conoscenze acquisite sul medicamento omologato non sono incluse nel Rapporto sintetico di omologazione.

I medicinali omologati in Svizzera sono monitorati da Swissmedic. In caso di nuovi effetti indesiderati riscontrati o di altri segnali rilevanti per la sicurezza, Swissmedic adotterà le misure necessarie. Swissmedic si occuperà di registrare e pubblicare qualsiasi nuova conoscenza acquisita concernente aspetti che potrebbero compromettere la qualità, l'efficacia o la sicurezza di questo medicamento. Se necessario, l'informazione sul medicamento sarà modificata.