



COMMISSION DE LA TRANSPARENCE SYNTHÈSE D'AVIS 21 JUILLET 2021

pemigatinib
PEMAZYRE 4, 5 mg - 9 mg - 13 mg, comprimés

Première évaluation

► L'essentiel

Avis favorable au remboursement uniquement dans le sous-groupe de patients atteints d'un cholangiocarcinome intrahépatique localement avancé ou métastatique avec fusion ou réarrangement du gène du récepteur 2 du facteur de croissance des fibroblastes (FGFR2) qui ont progressé après au moins une ligne de traitement systémique et non éligibles à une chimiothérapie par FOLFOX.

Avis défavorable au remboursement dans les autres situations.

► Quel progrès ?

Pas de progrès dans la stratégie thérapeutique en l'état actuel des données.

► Quelle place dans la stratégie thérapeutique ?

Selon les recommandations nationales du TNCD (Thésaurus National de Cancérologie Digestive), au stade métastatique cholangiocarcinome intrahépatique, le traitement de première ligne est une chimiothérapie par gemcitabine et cisplatine. En France, le protocole GEMOX est aussi utilisé dans

cette situation. Chez les patients relevant d'une 2ème ligne de traitement systémique, le protocole FOLFOX est une option thérapeutique.

Place de PEMAZYRE (pemigatinib) dans la stratégie thérapeutique :

Considérant :

- les données limitées d'efficacité disponibles reposant sur les résultats d'une étude de phase II non comparative, alors qu'une comparaison à la chimiothérapie par FOLFOX était possible en deuxième ligne,
- les événements indésirables fréquents, sévères et pour certains inhabituels (troubles du métabolisme du phosphore, décollements rétiens),

La Commission de la Transparence considère qu'en l'état actuel des données, PEMAZYRE est une option de traitement uniquement pour les patients ayant un cholangiocarcinome intrahépatique avec fusion ou réarrangement de FGFR2 à partir de la deuxième ligne et qui ne sont pas éligibles à une chimiothérapie par FOLFOX. Dans ce contexte, un schéma allégé de chimiothérapie tels que le protocole LV5FU2 demeure également comme autre option thérapeutique.

Ce document a été élaboré à partir de l'avis de la Commission de la transparence disponible sur www.has-sante.fr.