

財團法人醫藥品查驗中心 醫療科技評估報告補充資料

商品名：Pemazyre (暫支付屆期評估)

學名：pemigatinib

事由：

1. 達伯坦錠 (Pemazyre, 主成分 pemigatinib) 自民國 112 年 5 月起以暫時性列項方式納入健保給付, 為期 2 年, 適用於「成人接受過全身性藥物治療、腫瘤具有 FGFR2 融合或重排、不可手術切除的局部晚期或轉移性肝內膽管癌」。
2. 原預定 Pemazyre 暫時性支付協議屆期前 6 個月, 於民國 113 年 11 月進行屆期評估; 然而, 考量當時台灣東洋藥品工業股份有限公司 (以下簡稱建議者) 執行之 Pemazyre 真實世界療效評估研究收案數狀況未達預期, 故經藥品專家諮詢會議建議, 展延 2 年之暫時性支付時程至 3 年, 並要求建議者於 115 年 7 月再次提交國內外病人使用之資料, 做為重新檢視 Pemazyre 於台灣病人的適用性與給付條件之參考。
3. 建議者於民國 115 年 7 月提交暫時性支付展延後之 Pemazyre 療效實證資料。衛生福利部中央健康保險署 (以下簡稱健保署) 函請財團法人醫藥品查驗中心 (以下簡稱查驗中心) 就此次建議者檢附之「國內外使用資料」提供療效評估之相關建議, 供後續審議會議參考。

完成時間：民國 115 年 08 月 12 日

評估結論

一、建議者提出實證研究：

建議者提出 pemigatinib 之實證研究包括國內使用資料台灣真實世界研究 PG2401, 以及國外使用資料, 考量主要臨床試驗 FIGHT-202、美國、法國/義大利、法國等真實世界研究已涵括於前次屆期評估報告, 本報告僅摘述我國、加拿大、日本、中國等更新之真實世界研究; 分述如下, 4 項研究均為單組研究, 分析結果比較如表一：

1. 台灣真實世界研究 PG2401 為一項多中心 (12 間醫療院所)、非介入性、採回溯性病例資料蒐集與前瞻性觀察之研究, 納入符合 pemigatinib 健保給付規定的 50 位病人進行分析, 病人平均年齡約 60 歲, 大多為轉移性膽管癌, 常見的轉移部位包括肝臟與肺部。分析結果顯示, 於腫瘤評估期間沒有病人達到完全反應, 而部分反應、穩定疾病及疾病惡化的病人比例分別為 30.0%、56.0%及 14.0%, 達到部分反應病人的治療反應持續時間中位數為 5.9 個月; 整體存活期中位數為 26.6 個月, 無惡化存活期中位數為 8.0 個月。
2. 加拿大真實世界研究透過線上調查, 邀請處方 pemigatinib 的專科醫師回報病人治療資訊, 日本真實世界研究則是一項多中心觀察性研究, 自日本 43 間醫療院所取得病人資料, 中國真實世界研究為一項多中心、前瞻性研究, 但未報告資料蒐集方式及來源; 其中, 加拿大與日本研究分別納入 18 位與 74 位病人, 且大致符

財團法人醫藥品查驗中心

醫療科技評估報告補充資料

合我國 pemigatinib 健保給付規定，即曾接受過全身性治療、不可切除、具有 FGFR2 融合或重排的局部晚期或轉移性膽管癌，而中國研究則未限制病人需曾接受過全身性治療，納入 28 位膽管癌病人。三項研究之分析結果顯示，病人的客觀反應率（ORR）介於 30%至 60%、疾病控制率（DCR）介於 85%至 90%、中位數 PFS 介於 7 個月至 12 個月、中位數 OS 大多尚未達到。

3. 安全性方面，在各項真實世界研究中，pemigatinib 最常見的不良事件大致皆與主要臨床試驗 FIGHT-202 相似，包含高血磷、指甲毒性、乾眼、疲倦、掉髮等；我國真實世界研究亦未觀察到新出現的不良事件。

表一、Pemigatinib 於各國真實世界研究之療效結果

國家	台灣	加拿大	日本	中國
病人數	50	18	74	28
追蹤時間中位數，月	—	12.6	—	8.6
ORR，%	30.0	56%	30.0%	42.9
DCR，%	86.0	89%	85.7%	85.7%
PFS 中位數，月	8.0	12.1	7.00	7.3
OS 中位數，月	26.6	未達到	13.10	未達到

二、 本報告評論：

本報告認為根據建議者提供之本案藥品台灣與國外真實世界研究報告，可說明台灣符合 pemigatinib 健保給付規定病人使用情形與療效評估結果，也符合健保審議會議之要求，評論如下：

1. Pemigatinib 之主要臨床試驗與各項真實世界證據均為單組研究，因此，所得療效結果主要用於描述 pemigatinib 於我國與國外臨床實務之治療表現，尚無法據以估計相比其他治療之相對療效。若以 naïve compare 方式對照國外 RWE 與 pemigatinib 主要臨床試驗結果，台灣 PG2401 研究之 ORR、DCR 及 PFS 中位數大致與其他國家 RWE 及 FIGHT-202 試驗結果相近，OS 中位數則有延長的趨勢；安全性方面則未觀察到不同於其他國家研究的不良事件。惟須留意各研究之病人族群、治療歷程及追蹤方式等存在差異。
2. 目前各項研究間之比較僅屬未經調整之跨研究（naïve cross-study）比較。由於各研究之納入條件、病人基期特徵、先前治療線數、疾病負荷、後續治療及追蹤方式可能不同，觀察到之 ORR、PFS 或 OS 差異可能受到族群異質性及其他預後因子影響，不宜直接解讀為 pemigatinib 於不同國家間或與臨床試驗間具療效差異。
3. 台灣真實世界研究 PG2401 未報告整體存活期之追蹤時間及事件成熟度，故宜謹慎解讀 OS 之結果。
4. 儘管具有上述限制，台灣真實世界研究 PG2401 仍可補充 pemigatinib 於台灣病人及常規臨床照護情境下之治療經驗，並作為主要臨床試驗 FIGHT-202 結果於我國

財團法人醫藥品查驗中心 醫療科技評估報告補充資料

臨床實務之外部可適用性之參考。

5. 加拿大 CDA-AMC 於 114 年 5 月公告 pemigatinib 之再次審議結果，由 111 年的不建議給付改為建議給付，且給付條件與我國相近。

整體而言，目前實證可支持 pemigatinib 於我國健保給付情境下，療效與安全性表現大致未偏離既有臨床試驗及國外真實世界證據。

財團法人醫藥品查驗中心

醫療科技評估報告補充資料

一、案由

本案為台灣東洋藥品工業股份有限公司(以下簡稱建議者)針對Pemazyre[®]，主成分 pemigatinib(以下簡稱本案藥品)用於治療「成人接受過全身性藥物治療、腫瘤具有 FGFR2 融合或重排、不可手術切除的局部晚期或轉移性膽管癌」，依全民健康保險藥物給付項目及支付標準共同擬訂會議藥品部分(以下簡稱共擬會議)第 58 次和第 59 次會議(2022 年 10 月，2022 年 12 月)決議[1,2]：基於實證資料僅有第II期單臂臨床試驗，療效具有不確定性，倘納入健保給付，將列屬暫時性健保支付，並建置登錄系統，使用本案藥品時需完成個案系統登錄，亦需於療程結束或停止使用該藥品後，於此系統登錄結案，否則不予支付。

本案藥品於 2023 年 4 月 14 日被公告暫予支付，並於同年 5 月 1 日生效給付[3]。依中央健康保險署(以下簡稱健保署)藥品給付協議，要求建議者於本案藥品納入給付後 2 年內應提供台灣及其他國家病人的使用資料，以利做為協議屆期時重新檢討本案藥品支付價、給付條件及由暫時性支付改為一般支付品項合適性的療效評估參考。本案藥品之現行健保給付規定如下[4]：

9.98. Pemigatinib (如 Pemazyre)：(112/5/1、113/6/1)

1. 適用於成人接受過全身性藥物治療、腫瘤具有 FGFR2 融合或重排、不可手術切除的局部晚期或轉移性肝內膽管癌。
2. 需經事前審查核准後使用，初次申請需檢附腫瘤組織具有 FGFR2 基因融合或重排之基因變異檢測報告，且需符合全民健康保險藥品給付規定之通則十二。(113/6/1)
3. 核准後每 12 週需再次申請，再次申請時需檢附療效評估資料證實無疾病惡化，才可繼續使用。
4. 每日限處方 1 粒。

建議者先前已於 2024 年 1 月及同年 9 月，分別提交本案藥品於我國病人的「暫時性支付藥品再評估計畫書」，與初步國內外使用資料(包含法國/義大利、法國及美國)，健保署函請財團法人醫藥品查驗中心(以下簡稱查驗中心)，就建議者提交之再評估相關資料，進行計畫書審查與療效評估。2024 年 11 月經藥品專家諮詢會議討論，考量 Pemazyre 為精準治療藥品，暫時性支付之療效評估執行因收案數狀況未達預期，故建議延長暫時性支付時程，由原訂 2025 年 4 月展延至 2026 年 12 月，並要求建議者於 2026 年 7 月再次提交台灣及其他國家病人使用之資料，做為重新檢視 Pemazyre 於台灣病人的適用性與給付條件之參考。

建議者依據暫時性支付藥品再評估計畫書內容，提交一份療效評估資料，包括 pemigatinib 台灣真實世界研究(real world evidence, RWE)報告 PG2401 之分析結果，爰此，本報告檢視並評估可得療效證據，以供後續審議會議參考。

財團法人醫藥品查驗中心

醫療科技評估報告補充資料

二、建議者之提供療效評估資料

(一) 療效證據

建議者於 2024 年 9 月初步提交之國內外使用資料已包含主要臨床試驗 FIGHT-202、美國、法國/義大利、法國等真實世界研究，本次除了提交前述資料，另增加一項第IV期台灣研究 PG2401 收案病人數據分析結果，以及加拿大、日本、中國等真實世界研究，與一篇台灣以 pemigatinib 做為肝內膽管癌後線治療情境進行的成本效益分析研究，做為屆期評估的補充資料，本報告針對本次建議者提交之療效評估資料整理如表二；後續主要摘述此次新增與我國的真實世界研究，其餘研究詳見前次評估報告。本報告認為本次建議者提交的實證資料，符合本案藥品國內外病人使用資料之屆期評估要求。

表二、療效實證清單

屆期繳交之實證資料	
研究性質	研究標題/資料來源
真實世界研究 (已發表)	- 臨床試驗 FIGHT-202（主要分析、最終分析）[5, 6] - 美國真實世界研究[7] - 中國第II期橋接試驗[8, 9] - 法國/義大利真實世界研究[10] - 法國真實世界研究（PEMI-BIL）[11] - 加拿大真實世界研究/發表文獻[12] - 日本真實世界研究/研討會海報（JON2303 B）[13] - 中國真實世界研究/研討會海報[14] - ABC06 (FOLFOX 化療二線標準試驗)[15] - 台灣成本效益分析研究[16]
真實世界研究 (自行蒐集)	PG2401 台灣真實世界研究
其他醫療科技 評估組織報告	- 英國 NICE[17] - 加拿大 CDA-AMC[18]
備註： <u>畫底線者</u> 為此次新增的真實世界研究，本報告將於後續進行摘述。 CDA-AMC 為 Canada's Drug Agency 加拿大藥品及醫療科技評估機構的縮寫； NICE 為 National Institute for Health and Care Excellence 國家健康暨照護卓越研究院的縮寫。	

(二) 建議者針對本案藥品之給付規定建議

財團法人醫藥品查驗中心 醫療科技評估報告補充資料

參考 2026 年 NCCN 膽管癌臨床指引第一版建議[19]，無法切除或轉移性膽管癌第一線首選治療為 durvalumab 或 pembrolizumab 合併 cisplatin, gemcitabine，後線治療中若病人具有 FGFR2 融合或重排等突變，建議接受 futibatinib 或 pemigatinib 或 erdafitinib，我國現行於膽管癌的治療符合此建議治療建議，惟膽管癌相關給付規定中，限制免疫檢查點抑制劑在治療上：「每位病人每個適應症限給付一種免疫檢查點抑制劑且不得互換，治療期間亦不可合併申報該適應症之標靶藥物，無效後或給付時程期滿後則不再給付該適應症相關之標靶藥物」。建議者因此也提出修訂免疫抑制劑使用通則，調整治療限制，以符合國際臨床指引建議與現行臨床實務。

對此建議，考量部分癌別治療路徑改變，目前政策規劃對此治療限制進行相關給付規定修訂，並將另案討論。

三、建議者提供實證之整體性評估

(一) 國內病人使用本案藥品之療效實證

本次建議者檢附之台灣 RWE PG2401 研究《A Real World Evidence Study to Evaluate the Treatment Outcome of pemigatinib in Patients with Previously Treated Locally Advanced/Metastatic of Unresectable Cholangiocarcinoma》研究計畫書與 2024 年 1 月提交之研究計畫書同為 2023 年 12 月完成之 V1.0 版本，內容並無變更，查驗中心針對此份計畫書已於 2024 年 2 月暫時性支付藥品再評估計畫書審查時提出建議，本報告不再贅述。

依據 PG2401 研究計畫書，PG2401 為一項多中心、非介入性（non-interventional）、以回顧性和前瞻性的病歷審查為主要的研究。研究方法包括審查並收集現有的醫療記錄，內容涵蓋病人基本資訊與 pemigatinib 的使用情況、腫瘤評估及不良事件等，研究預計執行期間為 2023 年 5 月 1 日至 2025 年 12 月 31 日，根據台灣癌症登記報告，預計收案人數共 50 人。因延長暫時性支付期限，此上市後研究最終在台灣共 12 個研究中心進行，並於 2026 年 1 月完成收案。

納入分析的 50 位病人平均年齡為 60.6 歲；女性受試者佔 54.0%。大多數受試者的 ECOG 評分為 0 分（36.0%）或 1 分（52.0%）。在基礎期時，受試者均經組織學或細胞學證實為局部晚期或轉移性膽管癌（CCA），其中 98.0%為肝內膽管癌。74.0%的受試者有遠端轉移（M1）；最常見的轉移部位為肝臟（52.0%）和肺部（50.0%）；FGFR2 基因檢測結果，98.0%存在 FGFR2 基因融合。

PG2401 試驗之分析包含完整分析族群（full analysis set, FAS）及依計畫書規

財團法人醫藥品查驗中心

醫療科技評估報告補充資料

劃 (per protocol, PP) 族群^a，本報告以下摘述 FAS 族群結果。FAS 分析結果顯示，沒有病人達到最佳治療反應中的完全反應，而部分反應、穩定疾病及疾病惡化的病人比例分別為 30.0%、56.0%及 14.0%；治療客觀反應率為 30.0% (95% CI 17.30% to 42.70%)，疾病控制率 86.0% (95% CI 76.38% to 95.62%)，達到部分反應病人的治療反應持續時間中位數為 5.9 個月 (95% CI 3.02 to 7.8)；整體存活期中位數為 26.6 個月 (95% CI 15.11 to 無法評估)，無惡化存活期中位數為 8.0 個月 (95% CI 6.64 to 10.51)。

安全性方面，最常見不良事件(發生率 $\geq$ 20.0%)包括指甲毒性(nail toxicity)、高血磷(hyperphosphatemia)、口腔炎、疲倦、食慾減退、掉髮(alopecia)、腹瀉、噁心和乾眼(dry eye)，均為 pemigatinib 已知的常見不良事件。研究期間共發生 16 例嚴重程度 3 級不良事件，主要為貧血、低血鉀和指甲毒性；共通報 5 例 4 級不良事件；未報告導致死亡(5 級)的不良事件。嚴重不良事件(SAE)發生率為 12.0%，包括肝臟酵素升高、高血鈣、髖部骨折以及腎臟/血管相關事件，其中有 2 例受試者因嚴重不良事件(分別為 4 級腦動脈阻塞和 3 級靜脈曲張出血)停止治療，皆判斷與 pemigatinib 治療無關。

(二) 國外使用本案藥品之療效實證

本次建議者提供本案藥品 pemigatinib 於加拿大、日本、中國等國外使用經驗作為療效佐證資料，本報告摘述如下；研究設計資訊、研究納入病人特質與研究分析結果分別彙整於表三、表四與表五。

1. 加拿大真實世界研究[12]

加拿大真實世界研究透過線上調查，邀請處方 pemigatinib 的專科醫師回報病人治療資訊，納入條件限制為已加入病人支持計畫(patient support program, PSP)的 18 歲以上成年病人，並且為曾經接受過全身性治療、不可切除、具有 FGFR2 融合或重排的局部晚期或轉移性膽管癌，主要療效指標為客觀反應率(objective response rate, ORR)、疾病控制率(disease control rate, DCR)和無惡化存活期(progression free survival, PFS)，其中疾病控制率定義為達到治療完全反應、部分反應或穩定疾病的病人百分比。

蒐集 18 位病人的分析結果，年齡中位數為 57 歲，67%為女性，61%為第IV期腫瘤，83%診斷為肝內膽管癌。加拿大情境中，capecitabine 是最常見的輔助治

^a 完整分析族群(FAS): 符合納入標準且至少接受過一次 pemigatinib 治療; 依計畫書規劃(PP): 至少接受 4 個週期 pemigatinib 治療, 且給藥後至少進行過一次腫瘤評估, 且在研究期間未發生違反試驗計畫書的重大事件。

財團法人醫藥品查驗中心

醫療科技評估報告補充資料

療選項，而合併 gemcitabine 含鉑化療是最常使用的第一線治療用藥。療效指標結果顯示，ORR 為 56%，DCR 為 89%，治療期間常見停藥原因為疾病惡化，其中有一人因住院停藥，停藥原因未包含藥品毒性。此外，PFS 中位數為 12.1 個月，OS 中位數尚未達到，12 個月和 24 個月時，整體存活率分別 93% 和 84%。

2. 日本真實世界研究[13]

日本真實世界研究為研討會發表海報，是一項多中心的觀察性研究，自日本 43 醫療院所取得病人資料，主要目標為了解 pemigatinib 治療日本病人的療效，同時蒐集膽管癌納入條件為經診斷屬 FGFR2 融合或重排、曾接受過全身性治療的膽管癌病人，主要療效指標為 ORR 及 OS。

納入 74 位病人的分析結果，年齡中位數為 62.5 歲，39.2% 為女性，58% 為轉移性病人，67% 診斷為肝內膽管癌，基因檢測有 77% 病人具有 FGFR2 融合，最常見與 FGFR2 融合的基因為 BICC1。療效指標結果顯示，ORR 為 30.0%，DCR 為 85.7%，PFS 中位數為 7.0 個月，OS 中位數為 13.1 個月。

3. 中國真實世界研究[14]

中國真實世界研究目的為評估 pemigatinib 在帶有基因 FGFR 1 至 3 擴增 (amplification)、重排/融合或突變的晚期實體腫瘤病人中的療效，其中包含膽管癌病人。發表海報中未說明資料蒐集方式與來源，納入病人條件為 18 歲以上、未曾接受 FGFR 酪胺酸酶抑制劑 (tyrosine kinase inhibitor, TKI) 並具有 FGFR2 基因突變的晚期實體腫瘤病人，主要療效指標為 ORR，次要療效指標為 DCR、DOR、PFS 及 OS，同時評估 pemigatinib 的安全性。

納入 28 位膽管癌病人的分析結果，年齡中位數為 59 歲，48.8% 為女性，基因檢測有 80.5% 病人具有 FGFR2 融合。療效指標結果顯示，ORR 為 42.9%，DCR 為 85.7%，DOR 為 5.8 個月，PFS 中位數為 7.3 個月，OS 中位數尚未達到，12 個月時整體存活率為 68.2%。安全性結果顯示，RWE 治療未發生新的安全性事件，常見不良事件為指甲毒性、高血磷及掉髮，有 14% 病人因治療相關不良事件降低治療劑量，2.4% 因不良事件停止治療。

(三) 國內外使用本案藥品之療效實證評論

1. 研究設計限制

真實世界研究設計受限於單臂研究，因缺乏療效對照組無法了解相對療效比較結果；而在病人納入及排除條件方面，由於限制相對臨床試驗少，較能反映具

財團法人醫藥品查驗中心

醫療科技評估報告補充資料

有不同共病症複雜程度之真實世界病人療效；此外，RWE 研究的指標評估為臨床醫師判斷，因此與臨床試驗由獨立審查委員會的評估，可能影響不同研究間分析結果的可比較性。

2. 納入病人條件

建議者提交之真實世界研究納入的病人皆為曾經接受過全身性治療、不可切除、具有 FGFR2 融合或重排的局部晚期或轉移性膽管癌，病人特徵方面，我國 PG2401 研究的病人年齡中位數為 61 歲，與其他國家 RWE 研究相似（57 至 65 歲），略高於 FIGHT-202 試驗（55.5 歲）；屬於肝內膽管癌病人占多數，除美國與中國 RWE 研究約為 70%，其餘皆為 90% 以上；多數病人 ECOG 分數為 0 至 1 分；除中國 RWE 外，病人皆至少接受過第一線全身性治療，其中加拿大 RWE 與 FIGHT-202 試驗曾接受第一線治療的病人約佔 60%，曾接受第二線治療約 30%，而日本與中國 RWE 曾接受第一線、第二線治療的病人分別約佔 47%、40% 與 40%、25%，我國 PG2401 研究則未分析/呈現病人曾接受的全身性治療線別。

3. 療效結果

療效結果方面，我國 PG2401 研究顯示 ORR 為 30%，與日本 RWE 結果相似但低於其他國家；PG2401 研究之 DCR 為 86%，與其他國家 RWE 結果相似；PFS 中位數為 8 個月，與 FIGHT-202 試驗及其他國家 RWE 研究相似，介於 7 至 9 個月；OS 中位數為 26.6 個月，高於 FIGHT-202 試驗之 17.6 個月，亦高於其他國家 RWE 研究。而我國 PG2401 研究之 ORR、DCR、PFS 中位數及 OS 中位數結果，皆優於 ABC-06 第二線化療試驗^b之結果，ABC-06 第二線化療試驗 ORR、DCR、PFS 中位數及 OS 中位數分別為 5%、33%、4 個月及 6.2 個月。

4. 安全性結果

安全性結果方面，美國、加拿大及日本 RWE 研究未提及不良事件結果，中國第 II 期橋接試驗及 RWE 研究、法國及法國/義大利 RWE 研究，在不同追蹤時間，最常見的不良事件大致皆與 FIGHT-202 試驗相似，包含高血磷、指甲毒性、乾眼、疲倦等；嚴重程度 3 級以上不良事件發生率約介於 22% 至 35%，皆低於 ABC-06 第二線化療試驗（69%）。建議者提供之我國 RWE 研究常見不良事件與 FIGHT-202 試驗相似，包含高血磷、指甲毒性等，未觀察到新出現的不良事件。

^b ABC-06 試驗為一項第 III 期、多中心、開放式作業（open-label）、隨機對照試驗，目的在評估晚期膽道癌使用第二線 FOLFOX 化療所帶來的益處，試驗納入局部晚期或轉移性膽道癌（包括膽管癌、膽囊癌或壺腹癌），並於一線使用合併 cisplatin, gemcitabine 化療後疾病惡化之成人病人，排除腦部轉移、臨床上顯著心血管疾病者，主要療效指標為 OS。

財團法人醫藥品查驗中心 醫療科技評估報告補充資料

四、建議者提供實證之評估結論

根據建議者提供之本案藥品 pemigatinib 真實世界報告 PG2401，本報告認為整體資料蒐集與分析可說明台灣符合 pemigatinib 健保給付規定病人使用情形與療效評估結果。

整體而言，由於臨床試驗及 RWE 研究之研究設計皆為單組研究，且建議者未提供其他間接比較研究，故仍無法提供與現有治療的相對療效比較結果。若以 naïve compare 方式對照 RWE 與試驗結果，FIGHT-202 試驗及 RWE 研究（除中國外）皆納入曾經接受過全身性治療、不可切除、具有 FGFR2 融合或重排的局部晚期或轉移性膽管癌病人，台灣 PG2401 研究之 ORR、DCR 及 PFS 中位數大致與其他國家及 FIGHT-202 試驗結果相近，OS 中位數則有延長的趨勢；安全性方面未發生新的不良事件，常見不良事件包含高血磷、指甲毒性、掉髮等。

財團法人醫藥品查驗中心 醫療科技評估報告補充資料

表三、FIGHT-202 試驗與 pemigatinib 於各國真實世界研究設計

研究名稱	FIGHT-202 試驗 (cohort A) [5, 6]	台灣 RWE 研究 PG2401	加拿大 RWE 研究[12]	日本 RWE 研究 [研討會海報][13]	中國 RWE 研究 [研討會海報][14, 20]
研究目的	評估 pemigatinib 用於曾接受全身性治療、具或不具 FGF/FGFR 變異之局部晚期或轉移性膽管癌之安全性和抗腫瘤活性。(後續僅針對 FGFR2 融合或重排次族群(即 cohort A)摘錄相關內容)。	評估真實世界中接受過全身性藥物治療、具有 FGFR2 融合或重排、不可手術切除、局部晚期或轉移性膽管癌病人使用 pemigatinib 的治療結果。	評估加入加拿大病人支持計畫(patient support program, PSP)，且真實世界中接受過全身性藥物治療、具有 FGFR2 融合或重排、不可手術切除、局部晚期或轉移性膽管癌病人使用 pemigatinib 的治療結果。	評估 pemigatinib 於日本臨床實務中，治療曾接受過全身性治療，且為不可切除或復發性的膽道癌病人療效。	評估 pemigatinib 在 FGFR1 至 3 突變(包括但不限於 FGFR 擴增、重排/融合、突變等)的晚期實體腫瘤及各次族群中的療效。
研究設計	第 II 期、多國、多中心、開放式作業(open-label)、單臂試驗	多中心、非介入性、回溯性和前瞻性、病歷回顧的單臂研究	回溯性、多中心 PSP 病例系列研究	多中心、觀察性研究	多中心、探索性臨床研究
研究時間	2017 年 1 月至 2022 年 2 月	2024 年 5 月至 2026 年 1 月	2021 年 1 月至 2022 年 10 月	2021 年 7 月至 2025 年 5 月	2023 年 1 月至 2024 年 11 月
研究地點	美國、歐洲、中東、亞洲	台灣 12 間醫療院所	曾有處方 pemigatinib 經驗的醫師填寫線上問卷	日本 43 間醫療院所	未說明
資料來源	臨床試驗	病歷回顧	線上調查	未說明	病歷回顧

財團法人醫藥品查驗中心 醫療科技評估報告補充資料

研究名稱	FIGHT-202 試驗 (cohort A) [5, 6]	台灣 RWE 研究 PG2401	加拿大 RWE 研究[12]	日本 RWE 研究 [研討會海報][13]	中國 RWE 研究 [研討會海報][14, 20]
病人族群	接受過全身性藥物治療、具 <i>FGFR2</i> 融合或重排、不可手術切除、局部晚期或轉移性膽管癌之成年病人(cohort A)。	接受過 1 種以上全身性治療後惡化、具 <i>FGFR2</i> 融合或重排的局部晚期或轉移性膽管癌之成年病人。	接受過全身性治療、不可手術切除、具 <i>FGFR2</i> 融合或重排的局部晚期或轉移性膽管癌之成年病人。	不可手術切除或復發、具 <i>FGFR2</i> 融合或重排的局部晚期或轉移性膽管癌之成年病人。	先前未接受 <i>FGFR</i> TKI 治療、具有 <i>FGFR</i> 突變且擬接受 pemigatinib 治療的晚期膽管癌病人。
納入條件摘要	病人必須針對局部晚期/轉移性疾病至少接受過一線全身性治療且發生惡化、有可測量疾病、ECOG 體能狀態介於 0 至 2 分、預期壽命 12 週以上的病人，且腦轉移穩定的病人。	病人必須針對局部晚期/轉移性疾病至少接受過一線全身性治療且發生惡化、具 <i>FGFR2</i> 融合或重排、並且使用 pemigatinib 治療的病人。	年齡在 18 歲以上，且於 2021 年 1 月至 2022 年 10 月期間加入 PSP。	18 歲以上，經組織學或細胞學診斷為膽道癌 (IV 級或 V 級)，並自 2021 年 6 月起接受 pemigatinib 治療的病人。	18 歲及以上先前未接受 <i>FGFR</i> TKI 治療、具有 <i>FGFR</i> 突變且擬接受 pemigatinib 治療的晚期膽管癌病人
排除條件摘要	曾使用過選擇性 <i>FGFR</i> 抑制劑、異位性礦化或鈣化、臨床顯著的角膜或視網膜疾病、近期使用強效 CYP3A4 抑制劑或誘導劑、HIV 感染史、活動性 B 或 C 型肝炎	病例資料缺失(missing)或遭破壞的病人。	曾參加介入性臨床試驗接受 pemigatinib 治療；在開始 pemigatinib 治療後或開始前 12 個月內，因其他惡性腫瘤接受全身性治療；從未接受過 pemigatinib 治療。	首次處方 pemigatinib 前的 12 個月內，因膽道癌以外的惡性腫瘤接受過化療。	先前未接受 <i>FGFR</i> TKI 治療、具有 <i>FGFR</i> 突變且擬接受 pemigatinib 治療的晚期膽管癌病人。

財團法人醫藥品查驗中心

醫療科技評估報告補充資料

研究名稱	FIGHT-202 試驗 (cohort A) [5, 6]	台灣 RWE 研究 PG2401	加拿大 RWE 研究[12]	日本 RWE 研究 [研討會海報][13]	中國 RWE 研究 [研討會海報][14, 20]
	炎感染者、缺乏合適肝腎功能、超音波心動圖異常或未控制的心臟疾病、血磷或血鈣不在合適範圍內者。				
樣本數設定	假設在 ORR 為 33%、有 95%的機會 95% CI 下限大於 15%*、且失去追蹤的比例為 10%的情況下，需要收納 100 人。（計畫書修改前為收納 60 人。）	根據台灣癌症登記報告計算，納入 50 人	無說明，推測為符合研究納入排除條件的所有病人。	無說明，推測為符合研究納入排除條件的所有病人。	無說明，推測為符合研究納入排除條件的所有病人。
病人基礎特性摘要	年齡、性別、地區、種族、ECOG PS、轉移性疾病、先前使用的全身性療法數量、癌症手術、放射療法、腫瘤位置、病毒性肝炎。	研究機構、年齡、性別、診斷日、惡化日、腫瘤位置、NGS 檢測結果、 <i>FGFR2</i> 狀態、NGS 檢測、過去的全身性治療方式、ECOG PS。資料來自現有的病歷資料。	病人人口統計資料、臨床特徵及治療相關資訊。	病人人口統計資料、臨床特徵及治療相關資訊，同時包含常見共存的異常基因資訊（ <i>CDKN2A</i> 、 <i>TP53</i> 、 <i>BAP1</i> ）。	年齡、性別、腫瘤位置、 <i>FGFR2</i> 狀態、腫瘤期別、曾接受治療線別數、ECOG 分數、併用治療、pemigatinib 初始劑量。
治療	一次療程為 3 週，2 週	一次療程為 3 週，2 週	每日一次口服 13.5 mg	未說明，應為每日一次	每日一次口服 13.5 mg

財團法人醫藥品查驗中心 醫療科技評估報告補充資料

研究名稱	FIGHT-202 試驗 (cohort A) [5, 6]	台灣 RWE 研究 PG2401	加拿大 RWE 研究[12]	日本 RWE 研究 [研討會海報][13]	中國 RWE 研究 [研討會海報][14, 20]
方式	口服 pemigatinib，1 週停藥	口服 pemigatinib，1 週停藥	pemigatinib (21 天為一週期；服藥 2 週，停藥 1 週)。	口服 13.5 mg pemigatinib (21 天為一週期；服藥 2 週，停藥 1 週)。	pemigatinib (21 天為一週期；服藥 2 週，停藥 1 週)。
評估指標	主要指標：ORR。 次要指標：PFS、DOR、DCR、OS、安全性。	主要指標：ORR、DCR、DOR、OS 次要指標：PFS、安全性	主要指標：ORR、DCR、PFS 次要指標：OS	主要指標：ORR、OS	主要指標：ORR 次要指標：DCR、DOR、PFS、OS
指標評估	由獨立審查委員會依照 RECIST 1.1 版對於腫瘤反應進行評估。前 12 週為每 6 週評估 1 次，之後為每 9 週評估 1 次。	依照 RECIST 1.1 版評估腫瘤狀態，並推測為研究者評估腫瘤狀態。因研究為病歷回顧，推測疾病評估頻率比照給付規定為每 12 週。	由處方 pemigatinib 的醫生確認病人是否符合上述篩選標準，並提供作為常規診療所收集的病人人口統計資料、臨床特徵及治療相關資訊。	未說明。	依照 RECIST 1.1 版評估腫瘤狀態評估。
安全性評估	安全性評估時間為第 1 個療程的第 1、8、15 天、之後每療程的第 1 天、治療結束、結束後 30 天。不良事件根據 NCI-CTCAE 第 4.03 版分級。	安全性評估時程從治療開始至治療結束後 30 天或開始額外抗腫瘤治療。不良事件根據 NCI-CTCAE 第 5 版分級。	未評估。	未評估。	不良事件根據 NCI-CTCAE 第 5 版分級。

財團法人醫藥品查驗中心

醫療科技評估報告補充資料

研究名稱	FIGHT-202 試驗 (cohort A) [5, 6]	台灣 RWE 研究 PG2401	加拿大 RWE 研究[12]	日本 RWE 研究 [研討會海報][13]	中國 RWE 研究 [研討會海報][14, 20]
統計分析方法	療效結果為分析所有 FGFR2 轉位且有用藥的受試者。敏感度分析則分析 per protocol 族群。若病人的基礎或後續的評估資料不足時，主要療效指標會被認為是無反應者。沒有進行正式的假設檢定或推論分析。主要療效指標使用 Clopper-Pearson 方法估計 95% CI，存活結果以 Kaplan-Meier 方法分析。安全性為分析所有用藥病人。	主要療效評估依計畫族群分析 (per protocol)，也會分析所有病人 (Full Analysis Set)。ORR 和 DCR 會以描述性統計方式分析點估計值與 95% CI，PFS 和 OS 以 Kaplan-Meier 方法分析。安全性為分析所有用藥且有安全性追蹤資訊的病人。	病人人口及臨床特性、治療方式、治療期間與最佳影像學反應等，皆以描述性統計呈現；PFS 和 OS 以 Kaplan-Meier 方法分析。所有分析皆使用 R studio 進行。	以描述性統計呈現最佳治療反應、ORR、DCR，以 Kaplan-Meier 方法分析 PFS 和 OS。	ORR、DCR 和 DOR 以描述性統計方式分析點估計值與 95% CI，PFS 和 OS 以 Kaplan-Meier 方法分析。
* FIGHT-202 根據試驗過去膽管癌研究中的 ORR，認為具有最低臨床意義 (minimum clinically meaningful) 的 ORR 為 15%。 CI, confidence interval (信賴區間); DCR, disease control rate (疾病控制率); DOR, duration of response (反應持續時間); ECOG PS, Eastern Cooperative Oncology Group performance status (美國東岸癌症臨床研究合作組織體能狀態分數); FGFR, fibroblast growth factor receptor; NCI-CTCAE, National Cancer Institute Common Terminology Criteria for Adverse Events (美國國家癌症學會公佈之毒性反應參考準則); ORR, overall response rate (整體反應率); OS, overall survival (整體存活率); PFS, progression-free survival (無惡化存活期); RWE, real world evidence (真實世界證據)。					

財團法人醫藥品查驗中心 醫療科技評估報告補充資料

表四、FIGHT-202 試驗與 pemigatinib 於各國真實世界研究納入病人特質

研究名稱	FIGHT-202 試驗 cohort A最終分析[6]	本案台灣RWE研究	加拿大RWE研究[12]	日本RWE研究 [研討會海報][13]	中國RWE研究 [研討會海報][14]
病人數（人）	108	50	18	74	41
男性	38.9%	46.0%	33.3%	60.8%	51.2%
年齡中位數（歲）	55.5	61.0	57	62.5	59
亞洲人	11.1%	50	0	74	41
先前全身性治療線數					
1	60.2%	—	11 (61.1%)	35 (47.3%)	16 (39.0)
2	27.8%	—	6 (33.3%)	29 (39.2%)	10 (24.4)
3（含）或以上	12%	—	1 (5.6%)	10(13.5%)	—
肝內膽管癌	99.1%	49(98.0%)	15 (83.3%)	67 (90.5%)	28 (68.3)
膽管癌轉移	82.4%	44(88.0%)	—	58 (78.4%)	—
轉移部位					
肝臟	94.4%	26(52.0%)	—	—	—
肺臟	54.6%	25(50.0%)	—	—	—
ECOG PS					
0 分	42.6%	18(36.0%)	3 (16.7%)	33 (44.6%)	4 (9.8)
1 分	52.8%	26(52.0%)	15 (83.3%)	32 (43.2%)	33 (80.5)
FGFR2融合	100%	49(98.0%)	—	57 (77.0%)	33 (80.5)
FGFR2重排		1(2.0%)	—	13 (17.6%)	
BICC1 融合夥伴	29.6%	7(14.3%)	—	—	—
ECOG PS, Eastern Cooperative Oncology Group performance status（美國東岸癌症臨床研究合作組織體能狀態分數）；FGFR, fibroblast growth factor receptor; RWE, real world evidence（真實世界證據）。					

財團法人醫藥品查驗中心 醫療科技評估報告補充資料

表五、FIGHT-202 試驗與 pemigatinib 於各國真實世界研究結果

研究名稱	FIGHT-202試驗 cohort A 最終分析[6]	本案台灣RWE研究	加拿大RWE研究[12]	日本RWE研究 [研討會海報][13]	中國RWE研究 [研討會海報][14]
追蹤時間中位數，月 (範圍)	42.9 (19.9 to 52.2)	—	12.6 (2.3 to 28.4)	—	8.6 (2.1 to 23.0)
療效結果					
ORR，%(95%CI)	37.0% (27.9 to 46.9)	30.0% (17.30 to 42.70)	56%	30.0%	42.9 (24.5 to 62.8)
DCR，%(95%CI)	82.4% (73.9 to 89.1)	86.0% (76.38 to 95.62)	89%	85.7%	85.7% (67.3 to 96.0)
PFS中位數， 月(95%CI)	7.0 (6.1 to 10.5)	8.0 (6.64 to 10.51)	12.1 (7.2 to 未達到)	7.00 (5.93 to 9.13)	7.3 (6.4 to 10.4)
OS中位數， 月(95%CI)	17.5 (14.4 to 22.9)	26.6 (15.11 to 無法評估)	未達到	13.10 (11.23 to 18.18)	未達到 (10.6 to 無法評估)
DOR中位數， 月(95%CI)	9.1 (6.0 to 14.5)	5.9 (3.02 to 7.82)	—	—	—
安全性結果，人數(%)					
高血磷	55(58.5%)	29(58.0%)	—	—	22 (53.7%)
眼睛乾燥	33(30.6%)	13 (26.0%)	—	—	—
CI, confidence interval(信賴區間); DCR, disease control rate(疾病控制率); DOR, duration of response(反應持續時間); ECOG PS, Eastern Cooperative Oncology Group performance status (美國東岸癌症臨床研究合作組織體能狀態分數); ORR, overall response rate (整體反應率); OS, overall survival (整體存活率); PFS, progression-free survival (無惡化存活期); RWE, real world evidence (真實世界證據)。					

財團法人醫藥品查驗中心

醫療科技評估報告補充資料

五、其他實證資料

(一) 主要醫療科技評估組織之給付建議更新

本報告於 2026 年 7 月 16 日，再次以關鍵字 “pemigatinib”、“cholangiocarcinoma” 搜尋加拿大、澳洲與英國等主要醫療科技評估之公開網頁，分別於加拿大 CDA-AMC 及英國 NICE 網頁查獲與本案相關評估報告 2 份及 1 份，其中加拿大 CDA-AMC 於 2022 年公告與英國 NICE 於 2021 年公告之評估報告已於查驗中心評估報告中，於此不再重述，以下摘述加拿大 CDA-AMC 於 2025 年公告再次審議結果。

加拿大 CDA-AMC 於 2022 年因無法確認當時 pemigatinib 的療效證據，是否可滿足「接受過全身性藥物治療、具有 FGFR2 融合或重排、不可手術切除的局部晚期或轉移性膽管癌」病人對於腫瘤反應、延緩疾病惡化及生活品質的期待，故不建議給付。經加拿大廠商 2024 年再次送件，CDA-AMC 於 2025 年 5 月公告再次審議結果，有條件建議給付 pemigatinib 治療「曾接受治療，且不可切除的局部晚期或轉移性，具有 FGFR2 融合或重排的膽管癌成年病人」，給付條件如下：

- 組織學或細胞學確認為晚期、轉移性或為手術無法切除，且具有 FGFR2 融合或重排異常的膽管癌。
- 病人曾經接受至少一線全身性治療。
- 病人體能狀態良好，ECOG 分數為 0 或 1 分。
- 若發生疾病惡化或出現無法耐受的藥品毒性，應立即停藥。
- Pemigatinib 應由具備腸胃道惡性腫瘤治療經驗的專科醫師處方。
- 應至少降價 72% 以符合成本效益。

pERC 主要參考第II期、單組、開放作業的臨床試驗 FIGHT-202 中 cohort A 的最終分析結果，ORR 為 37%，DOR 中位數為 9.13 個月，OS 中位數為 17.48 個月，PFS 中位數為 7.03 個月，pERC 認為療效指標結果具有臨床意義，但受限於 FGFR2 異常的膽管癌病人相對少見，執行第III臨床試驗可能不可行，而 pERC 依據 FIGHT-202 試驗結果，尚無法得出 pemigatinib 對病人健康生活品質 (health related quality of life, HRQoL) 影響的結論。

由於 FIGHT-202 試驗為非比較性的單組試驗，pemigatinib 相對於其他治療選項的療效尚無法確認，間接比較結果雖然顯示 pemigatinib 相對於 mFOLFOX 或合併 mFOLFOX, 症狀控制藥品 在 OS 與 PFS 結果偏好 pemigatinib，但 pemigatinib 增加的額外益處仍具有不確定性。

財團法人醫藥品查驗中心

醫療科技評估報告補充資料

考量整體臨床實證資料，pERC 認為 pemigatinib 能解決部分病人需求，包括增加治療選擇、達到可耐受的腫瘤治療反應並可能延緩疾病惡化，此外，pemigatinib 為口服劑型且藥品安全性在可接受範圍，故最終建議納入常規給付，惟須符合前述給付條件。

(二) 電子資料庫搜尋結果

由於 pemigatinib 治療於「曾接受治療，且不可切除的局部晚期或轉移性，具有 FGFR2 融合或重排的膽管癌成年病人」之臨床試驗與真實世界研究均缺乏直接比較的結果，故本報告於 2026 年 7 月 30 日再次透過系統性文獻搜尋，以下表 PICOS 作為搜尋與篩選條件，主要限制研究設計條件為間接比較研究相關之統合分析 (meta-analysis) 或網絡統合分析 (network meta-analysis)，搜尋策略如附件一。

Patient	曾接受治療，且不可切除的局部晚期或轉移性，具有 FGFR2 融合或重排的膽管癌成年病人
Intervention	pemigatinib
Comparator	未設限；或以目前我國臨床實務中第二線之仿單外用法 mFOLFOX、FOLFIRI 或合併 <u>gemcitabine, TS-1</u> 為主
Outcome	療效指標以 ORR、DCR、OS、PFS 為主；相關安全性
Study design	統合分析、網絡統合分析

經查詢 Cochrane library、Pubmed、Emabase 等電子資料庫，分別得到 17 筆、1 筆、3 筆文獻，經摘要標題篩選，皆不符合本案 PICOS 條件。

六、暫時性支付屆期再評估結論

依建議者提供之本案藥品 pemigatinib 我國真實世界研究 PG2401，本報告認為其整體資料蒐集與分析可說明台灣符合 pemigatinib 健保給付規定病人使用情形與療效評估結果，除了 PG2401 研究外，建議者也提供美國、法國、義大利、加拿大、日本與中國 RWE 等實證資料；整體而言，由於樞紐試驗 FIGHT-202 及 RWE 研究之研究設計皆為單組研究，且建議者未提供其他間接比較研究，故仍缺乏 pemigatinib 與現有治療的相對療效比較結果。若以 naïve compare 方式對照 RWE 與試驗結果，台灣 PG2401 研究之 ORR、DCR 及 PFS 中位數大致與其他國家 RWE 及 FIGHT-202 試驗結果相近，OS 中位數則有延長的趨勢；安全性方面則未觀察到不同於其他國家研究的不良事件。

財團法人醫藥品查驗中心

醫療科技評估報告補充資料

本報告另更新主要醫療科技評估組織建議，加拿大 CDA-AMC 與英國 NICE 皆建議給付 pemigatinib 用於治療「曾接受治療，且不可切除的局部晚期或轉移性，具有 FGFR2 融合或重排的膽管癌成年病人」，相關給付規定比較如表六，澳洲 PBAC 則查無與本案相關之評估結果；而本報告經電子資料庫搜尋，未額外查獲可作為本案參考之間接比較研究。

表六、Pemigatinib 用於治療 FGFR2 融合或重排的膽管癌之給付規定比較表摘要彙整

我國	加拿大 CDA-AMC	英國 NICE
- 適用於成人接受過全身性藥物治療、腫瘤具有 FGFR2 融合或重排、不可手術切除的局部晚期或轉移性肝內膽管癌。 - 需經事前審查核准後使用，初次申請需檢附腫瘤組織具有 FGFR2 基因融合或重排之基因變異檢測報告，且需符合全民健康保險藥品給付規定之通則十二。 - 核准後每 12 週需再次申請，再次申請時需檢附療效評估資料證實無疾病惡化，才可繼續使用。 - 每日限處方 1 粒。	- 組織學或細胞學確認為晚期、轉移性或為手術無法切除，且具有 FGFR2 融合或重排異常的膽管癌。 - 病人曾經接受至少一線全身性治療。 - 病人體能狀態良好，ECOG 分數為 0 或 1 分。 - 若發生疾病惡化或出現無法耐受的藥品毒性，應立即停藥。 - Pemigatinib 應由具備腸胃道惡性腫瘤治療經驗的專科醫師處方。 - 應至少降價 72%以符合成本效益。	曾接受治療，且不可切除的局部晚期或轉移性，具有 FGFR2 融合或重排的膽管癌成年病人。

財團法人醫藥品查驗中心

醫療科技評估報告補充資料

參考資料

1. 全民健康保險藥物給付項目及支付標準共同擬訂會議藥品部分第 58 次會議紀錄. 衛生福利部中央健康保險署.
<https://www.nhi.gov.tw/ch/cp-3803-41bbb-2490-1.html>. Published 2022.
Accessed July 6, 2026.
2. 全民健康保險藥物給付項目及支付標準共同擬訂會議藥品部分第 59 次會議紀錄. 衛生福利部中央健康保險署.
<https://www.nhi.gov.tw/ch/cp-3811-22243-2490-1.html>. Published 2023.
Accessed July 6, 2026.
3. 公告暫予支付含 pemigatinib 成分藥品 Pemazyre Tablets 4.5mg、9mg 及 13.5mg 共 3 品項暨其藥品給付規定.
https://www.hatw.org.tw/mode05_02.asp?num=20230419111118761&page=36&t=&c=. Published 2023. Accessed July 6, 2026.
4. 藥品給付規定. 衛生福利部中央健康保險署.
<https://www.nhi.gov.tw/ch/np-2505-1.html>. Published 2026. Accessed July 16, 2026.
5. Abou-Alfa GK, Sahai V, Hollebecque A, et al. Pemigatinib for previously treated, locally advanced or metastatic cholangiocarcinoma: a multicentre, open-label, phase 2 study. *Lancet Oncol* 2020; 21(5): 671–684.
6. Vogel A, Sahai V, Hollebecque A, et al. An open-label study of pemigatinib in cholangiocarcinoma: final results from FIGHT-202. *ESMO Open* 2024; 9(6): 103488.
7. Saverno K, Zimmerman Savill KM, Brown-Bickerstaff C, et al. Real-world use of pemigatinib for the treatment of cholangiocarcinoma in the US. *Oncologist* 2024.
8. Shi GM, Huang XY, Wen TF, et al. Pemigatinib in previously treated Chinese patients with locally advanced or metastatic cholangiocarcinoma carrying FGFR2 fusions or rearrangements: A phase II study. *Cancer Med* 2023; 12(4): 4137–4146.
9. Shi G, Huang X, Wen T, et al. Abstract CT153: Pemigatinib in Chinese patients with advanced/metastatic or surgically unresectable cholangiocarcinoma Including FGFR2 fusion or rearrangement: Updated overall survival from an open-label, single-arm, multicenter Phase II study. *Cancer Research* 2023; 83(8_Supplement): CT153–CT153.
10. Parisi A, Delaunay B, Pinterpe G, et al. Pemigatinib for patients with

財團法人醫藥品查驗中心

醫療科技評估報告補充資料

- previously treated, locally advanced or metastatic cholangiocarcinoma harboring FGFR2 fusions or rearrangements: A joint analysis of the French PEMI-BIL and Italian PEMI-REAL cohort studies. *Eur J Cancer* 2024; 200: 113587.
11. Delaunay B, Hollebecque A, Bouattour M, et al. 121P PemiBil: Efficacy and safety of pemigatinib in advanced cholangiocarcinoma with FGFR2 fusions/rearrangements in real-world, results of multicentric French cohort from ACABI consortium. *Annals of Oncology* 2023; 34: S228.
 12. Ding PQ, Tam VC, Ramjeesingh R, et al. Pemigatinib in the Real-World Management of Cholangiocarcinoma Through a Canadian Patient Support Program. *Current Oncology* 2025; 32(7): 405.
 13. Kimura Y, Ioka T, Ogura N, et al. 338P Interim report of the real-world data analysis of pemigatinib therapy for unresectable or recurrent biliary tract cancer patients in Japan with FGFR2 fusion or FGFR2 rearrangement (JON2303 B). *Annals of Oncology* 2025; 36: S132–S133.
 14. Chen X, Zhang X, Wei J, et al. 782P Efficacy and safety of pemigatinib in advanced solid tumors with FGFR alterations: A prospective, multicenter, real-world study. *Annals of Oncology* 2025; 36: S2039–S2040.
 15. Lamarca A, Palmer DH, Wasan HS, et al. Second-line FOLFOX chemotherapy versus active symptom control for advanced biliary tract cancer (ABC-06): a phase 3, open-label, randomised, controlled trial. *Lancet Oncol* 2021; 22(5): 690–701.
 16. Wang IT, Chen HL, Huang WM, et al. Battle against time for innovative cancer treatment: an updated cost-effectiveness analysis of pemigatinib in intrahepatic cholangiocarcinoma. *Cost Eff Resour Alloc* 2026; 24(1).
 17. Excellence NIHaC. Pemigatinib for treating relapsed or refractory advanced cholangiocarcinoma with FGFR2 fusion or rearrangement[TA722]. <https://www.nice.org.uk/guidance/ta722>. Published 2021. Accessed July 15, 2026.
 18. Agency CsD. Pemigatinib. <https://www.cda-amc.ca/pemigatinib-0>. Published 2025. Accessed July 15, 2025.
 19. Biliary Tract Cancers. National Comprehensive Cancer Network. <https://www.nccn.org/guidelines/guidelines-detail?category=1&id=1517>. Published 2026. Accessed July 16, 2026.
 20. 佩米替尼用于伴 FGFR 变异的晚期实体瘤的多中心、探索性临床研究. 中国临床试验注册中心. <https://www.chictr.org.cn/showproj.html?proj=194823>. Published 2023. Accessed July 15, 2026.

財團法人醫藥品查驗中心

醫療科技評估報告補充資料

附錄

附件一、療效文獻搜尋策略

電子資料庫	日期	關鍵字		篇數
PubMed	2026/7/30	#1	pemigatinib	281
		#2	cholangiocarcinoma	26,198
		#3	#1 AND #2	178
		#4	#3, meta-analysis, network meta-analysis	1
EMBase	2026/7/30	#1	pemigatinib	1,102
		#2	cholangiocarcinoma	39,881
		#3	#1 AND #2	524
		#4	#3, meta-analysis	3
Cochrane library	2026/7/30	#1	pemigatinib	26
		#2	cholangiocarcinoma	1,249
		#3	#1 AND #2	17