EMA/81001/2025
EMEA/H/C/005764

Fabhalta *(iptakopan)*

Přehled pro přípravek Fabhalta a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Fabhalta a k čemu se používá?

Fabhalta je léčivý přípravek, který se používá k léčbě těchto onemocnění:

- hemolytická anémie u dospělých s paroxysmální noční hemoglobinurií. Paroxysmální noční hemoglobinurie je onemocnění, při kterém nadměrný rozpad krvinek vede k anémii (nízkým hladinám hemoglobinu, což je bílkovina v červených krvinkách, která v těle přenáší kyslík), trombóze (krevním sraženinám v krevních cévách), pancytopenii (nízkým hladinám krvinek) a tmavé moči (kvůli uvolňování velkého množství hemoglobinu do moči),
- glomerulopatie C3 složky komplementu u dospělých, a to buď v kombinaci s inhibitorem RAS (léčivem, které působí na renin-angiotenzinový systém), nebo samostatně u pacientů, kteří inhibitor RAS nemohou užívat. Glomerulopatie C3 složky komplementu je onemocnění, při kterém progresivní poškození ledvin brání správnému filtrování krve, což vede k hromadění toxinů, snížené produkci moči a otoku.

Paroxysmální noční hemoglobinurie a glomerulopatie C3 složky komplementu jsou vzácná onemocnění a přípravek Fabhalta byl označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění". Další informace o těchto vzácných onemocněních naleznete na internetových stránkách agentury EMA (paroxysmální noční hemoglobinurie: 4. června 2020, glomerulopatie C3 složky komplementu: 4. prosince 2018).

Přípravek Fabhalta obsahuje léčivou látku iptakopan.

Jak se přípravek Fabhalta používá?

Přípravek Fabhalta je dostupný ve formě tobolek určených k užití ústy dvakrát denně.

Pokud dojde k vynechání jedné nebo více dávek, je třeba léčivý přípravek užít co nejdříve. Pokud u pacientů s paroxysmální noční hemoglobinurií dojde k vynechání několika dávek, pacienti by měli být sledováni z hlediska známek a příznaků hemolýzy (abnormálního rozpadu červených krvinek).

Výdej tohoto léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis.

Více informací o používání přípravku Fabhalta naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

© European Medicines Agency, 2025. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

Jak přípravek Fabhalta působí?

Komplementový systém je skupina bílkovin, které jsou součástí imunitního systému (přirozeného obranného systému těla). U pacientů s paroxysmální noční hemoglobinurií a glomerulopatií C3 složky komplementu je komplementový systém nadměrně aktivní a poškozuje jejich vlastní buňky, zejména červené krvinky v případě paroxysmální noční hemoglobinurie a buňky ledvin v případě glomerulopatie C3 složky komplementu.

Léčivá látka v přípravku Fabhalta, iptakopan, blokuje bílkovinu komplementového systému zvanou „faktor B". Blokováním faktoru B přípravek Fabhalta zabraňuje komplementovému systému v poškozování červených krvinek u paroxysmální noční hemoglobinemie a buněk ledvin u glomerulopatie C3 složky komplementu, čímž pomáhá zmírňovat příznaky těchto onemocnění.

Jaké přínosy přípravku Fabhalta byly prokázány v průběhu studií?

Paroxysmální noční hemoglobinurie

V jedné hlavní studii, do které bylo zařazeno 97 pacientů s paroxysmální noční hemoglobinurií, bylo prokázáno, že přípravek Fabhalta je účinný při zvyšování hladin hemoglobinu a snižování potřeby krevních transfuzí.

Pacienti v této studii byli v minulosti léčeni ravulizumabem nebo ekulizumabem (jinými léčivy k léčbě paroxysmální noční hemoglobinurie) po dobu nejméně 6 měsíců, přičemž stále trpěli anémií. Pacienti užívali buď přípravek Fabhalta, nebo pokračovali v léčbě ravulizumabem či ekulizumabem. Po 24 týdnech léčby činil procentní podíl pacientů, u nichž bylo dosaženo zvýšení hladin hemoglobinu o nejméně 2 g/dl bez krevních transfuzí, přibližně 82 % u pacientů užívajících přípravek Fabhalta v porovnání s 2 % pacientů, kteří pokračovali v léčbě ravulizumabem či ekulizumabem. Hladin hemoglobinu v hodnotě alespoň 12 g/dl dosáhlo bez krevních transfuzí přibližně 69 % pacientů užívajících přípravek Fabhalta v porovnání s přibližně 2 % pacientů užívajících ravulizumab nebo ekulizumab.

Údaje z další studie podpořily použití přípravku Fabhalta u pacientů s paroxysmální noční hemoglobinurií, kteří dosud nebyli léčeni.

Glomerulopatie C3 složky komplementu

V jedné hlavní studii, do které bylo zařazeno 74 pacientů s glomerulopatií C3 složky komplementu, bylo prokázáno, že přípravek Fabhalta je při zmírňování poškození ledvin účinnější než placebo. Pacienti zařazení do této studie již byli v rámci léčby glomerulopatie C3 složky komplementu léčeni jinými léčivými přípravky, jako jsou inhibitory RAS a imunosupresiva (kortikosteroidy, mykofenolát-mofetil nebo mykofenolát sodný).

Hlavním měřítkem účinnosti byly hladiny bílkovin v moči pacientů. Vzhledem k tomu, že zdravé ledviny udržují téměř všechny bílkoviny v krvi, přítomnost bílkovin v moči svědčí o poškození ledvin.

U pacientů užívajících přípravek Fabhalta došlo po 6 měsících léčby k přibližně 35% snížení hladin bílkovin v moči ve srovnání s pacienty, kterým bylo podáváno placebo. Tento účinek přetrvával i po 12 měsících léčby.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Fabhalta?

Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení přípravku Fabhalta je uveden v příbalové informaci.

U pacientů s paroxysmální noční hemoglobinurií jsou nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Fabhalta (které mohou postihnout více než 1 osobu z 10) infekce horních cest dýchacích (nosu a krku),

bolest hlavy a průjem. Nejčastějším závažným nežádoucím účinkem přípravku Fabhalta je infekce močových cest (infekce částí těla, které shromažďují moč a vylučují ji), která může postihnout až 1 pacienta z 10.

U pacientů s glomerulopatií C3 složky komplementu je nejčastějším nežádoucím účinkem přípravku Fabhalta (které mohou postihnout více než 1 osobu z 10) infekce horních cest dýchacích. Nejčastějším závažným nežádoucím účinkem je infekce pneumokokovými bakteriemi, která může postihnout až 1 osobu z 10.

Mechanismu účinku přípravku Fabhalta může zvýšit riziko infekcí. Přípravek Fabhalta nesmějí užívat pacienti, kteří trpí nevyléčenou infekcí způsobenou tzv. opouzdřenými bakteriemi, včetně bakterií *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* a *Haemophilus influenzae* typu B. Nesmějí jej užívat ani pacienti, kteří v současné době nejsou očkováni proti bakteriím *N. meningitidis* a *S. pneumoniae*, s výjimkou případů, kdy riziko oddálení léčby převáží riziko rozvoje infekce způsobené těmito bakteriemi.

Na základě čeho byl přípravek Fabhalta registrován v EU?

Bylo prokázáno, že přípravek Fabhalta je účinný při zvyšování hladin hemoglobinu a snižování potřeby krevních transfuzí u pacientů s paroxysmální noční hemoglobinurií. Dále bylo prokázáno, že snižuje hromadění bílkovin v moči u pacientů s glomerulopatií C3 složky komplementu, které naznačuje poškození ledvin. Nejčastější nežádoucí účinky jsou považovány za nepříjemné, ale neočekává se, že by pro pacienty představovaly riziko. Evropská agentura pro léčivé přípravky proto rozhodla, že přínosy přípravku Fabhalta převyšují jeho rizika, a může tak být registrován k použití v EU.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Fabhalta?

Společnost, která přípravek Fabhalta dodává na trh, poskytne lékařům a pacientům edukační materiály o riziku infekce opouzdřenými bakteriemi a o nutnosti, aby pacienti byli náležitě očkováni. V případě pacientů s paroxysmální noční hemoglobinurií materiály obsahují také informace o riziku závažné hemolýzy po ukončení léčby přípravkem Fabhalta.

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla rovněž zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Fabhalta, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Fabhalta průběžně sledovány. Podezření na nežádoucí účinky nahlášená v souvislosti s přípravkem Fabhalta jsou pečlivě hodnocena a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

Další informace o přípravku Fabhalta

Přípravku Fabhalta bylo uděleno rozhodnutí o registraci platné v celé EU dne 17. května 2024.

Další informace o přípravku Fabhalta jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/fabhalta.

Tento přehled byl naposledy aktualizován v 03-2025.