



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Fabhalta (*iptacopan*)

En oversigt over Fabhalta, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Fabhalta, og hvad anvendes det til?

Fabhalta er et lægemiddel, der anvendes til behandling af:

- hæmolytisk anæmi hos voksne med paroxysmisk nokturn hæmoglobinuri (PNH). PNH er en sygdom, hvor den overdrevne nedbrydning af blodlegemer fører til anæmi (lave niveauer af hæmoglobin – det protein i røde blodlegemer, der transporterer ilt rundt i kroppen), trombose (blodpropper i blodkar), pancytopeni (lavt antal blodlegemer) og mørk urin (fordi der frigives store mængder hæmoglobin i urinen)
- komplement 3-glomerulopati (C3G) hos voksne, enten i kombination med en RAS-hæmmer (et lægemiddel, der virker på renin-angiotensinsystemet) eller alene hos patienter, der ikke kan tåle RAS-hæmmere. C3G er en sygdom, hvor progressiv skade på nyrerne forhindrer dem i at filtrere blodet korrekt, hvilket fører til toksinophobning, reduceret urinproduktion og hævelse.

Både PNH og C3G er sjældne sygdomme. Derfor er Fabhalta blevet udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme". Yderligere information om lægemidler til sjældne sygdomme findes på [EMA's websted](#) (PNH: 4. juni 2020, C3G: 4. december 2018).

Fabhalta indeholder det aktive stof iptacopan.

Hvordan anvendes Fabhalta?

Fabhalta fås som kapsler, der indtages gennem munden to gange dagligt.

Hvis en eller flere doser glemmes, skal lægemidlet tages så hurtigt som muligt. Hos patienter med PNH: Hvis flere doser glemmes, skal patienter overvåges for tegn og symptomer på hæmolyse (unormal nedbrydning af røde blodlegemer).

Lægemidlet fås kun på recept.

Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Fabhalta, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.



Hvordan virker Fabhalta?

Komplementsystemet er en gruppe proteiner, der indgår i immunforsvaret. Hos patienter med PNH og C3G er komplementsystemet overaktivt og skader kroppens egne celler – røde blodlegemer ved PNH og nyreceller ved C3G.

Det aktive stof i Fabhalta, iptacopan, blokerer et protein i komplementsystemet kaldet "faktor B". Ved at blokere faktor B forhindrer Fabhalta komplementsystemet i at beskadige de røde blodlegemer ved PNH og nyreceller ved C3G og hjælper derved med at lindre symptomerne på disse sygdomme.

Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Fabhalta?

PNH

Af et hovedstudie blandt 97 patienter med PNH fremgik det, at Fabhalta er effektivt til at øge hæmoglobinniveauet og mindske behovet for blodtransfusion.

Patienter i studiet var tidligere blevet behandlet med ravulizumab eller eculizumab (andre lægemidler mod PNH) i mindst 6 måneder og havde stadig anæmi. Patienterne fik enten Fabhalta eller fortsatte deres behandling med ravulizumab eller eculizumab. Efter 24 ugers behandling var andelen af patienter, der opnåede en stigning i hæmoglobinniveauet på mindst 2 g/dl uden blodtransfusioner, ca. 82 % hos de patienter, der fik Fabhalta, sammenlignet med 2 % af de patienter, der fortsatte med ravulizumab eller eculizumab. Ca. 69 % af de patienter, der fik Fabhalta, opnåede hæmoglobinniveauer på mindst 12 g/dl uden blodtransfusioner, sammenlignet med ca. 2 % af de patienter, der fik ravulizumab eller eculizumab.

Data fra et yderligere studie understøttede anvendelsen af Fabhalta hos patienter med PNH, som ikke tidligere var blevet behandlet.

C3G

Fabhalta viste sig at være mere effektivt end placebo til at mindske nyreskaden i ét hovedstudie blandt 74 patienter med C3G. Patienter i studiet modtog allerede behandling for C3G med andre lægemidler såsom RAS-hæmmere og immunsuppressive midler (kortikosteroider, mycophenolatmofetil eller mycophenolatsodium).

Virkingen blev hovedsagelig bedømt på proteinindholdet i patienternes urin. Da sunde nyrer bevarer næsten alle proteiner i blodet, er tilstedeværelsen af proteiner i urinen tegn på nyreskade.

Efter 6 måneders behandling oplevede patienter, der fik Fabhalta, et fald i urinproteinindholdet på ca. 35 % sammenlignet med dem, der fik placebo. Denne virkning blev opretholdt efter 12 måneders behandling.

Hvilke risici er der forbundet med Fabhalta?

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Fabhalta fremgår af indlægssedlen.

Hos patienter med PNH omfatter de mest almindelige bivirkninger ved Fabhalta (som kan forekomme hos mere end 1 ud af 10 personer) infektioner i de øvre luftveje (næse og hals), hovedpine og diarré. Den mest almindelige alvorlige bivirkning ved Fabhalta er urinvejsinfektion (infektion i de dele af kroppen, der indsamler og udskiller urin), der kan forekomme hos op til 1 ud af 10 patienter.

Hos patienter med C3G er de mest almindelige bivirkninger ved Fabhalta (som kan forekomme hos mere end 1 ud af 10 personer) infektioner i de øvre luftveje. Den mest almindelige alvorlige bivirkning er infektion med pneumokokbakterier, som kan forekomme hos op til 1 ud af 10 personer.

På grund af måden, Fabhalta virker på, kan lægemidlet øge risikoen for infektioner. Fabhalta må ikke anvendes hos patienter med en vedvarende infektion forårsaget af såkaldte kapselbærende bakterier, herunder *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* og *Haemophilus influenzae* type B. Det må heller ikke anvendes hos patienter, der ikke er vaccineret mod *N. meningitidis* og *S. pneumoniae*, medmindre risikoen ved at forsinke behandlingen opvejer risikoen for at udvikle en infektion fra disse bakterier.

Hvorfor er Fabhalta godkendt i EU?

Fabhalta har vist sig effektiv til at hæve hæmoglobinniveauer og mindske behovet for transfusioner hos patienter med PNH, og til at reducere proteinudskillelse i urinen hos patienter med C3G – et tegn på reduceret nyreskade. De mest almindelige bivirkninger anses for at være generende, men forventes ikke at udgøre en risiko for patienterne. Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede derfor, at fordelene ved Fabhalta opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre, at Fabhalta anvendes sikkert og effektivt?

Virksomheden, der markedsfører Fabhalta, vil udlevere uddannelsesmateriale til læger og patienter om risikoen for infektion med kapselbærende bakterier og om behovet for vaccination. For så vidt angår patienter med PNH indeholder materialet også oplysninger om risikoen for alvorlig hæmolyse, når behandling med Fabhalta standses.

Der er desuden anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre, at Fabhalta anvendes sikkert og effektivt.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende anvendelsen af Fabhalta løbende overvåget. De formodede bivirkninger ved Fabhalta vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Øvrig information om Fabhalta

Fabhalta fik en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele EU den 17. maj 2024.

Yderligere information om Fabhalta findes på agenturets websted:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/fabhalta

Denne oversigt blev sidst ajourført i 03-2025.