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

Fabhalta *(Iptacopan)*

Übersicht über Fabhalta und warum es in der EU zugelassen ist

Was ist Fabhalta und wofür wird es angewendet?

Fabhalta ist ein Arzneimittel zur Behandlung von:

- hämolytischer Anämie bei Erwachsenen mit paroxysmaler nächtlicher Hämoglobinurie (PNH). PNH ist eine Erkrankung, bei der der übermäßige Abbau von Blutkörperchen zu Anämie (niedrige Konzentrationen von Hämoglobin, des Proteins in roten Blutkörperchen, das Sauerstoff im Körper transportiert), Thrombose (Blutgerinnsel in den Blutgefäßen), Panzytopenie (niedrige Konzentrationen von Blutkörperchen) und dunklem Urin (aufgrund der Freisetzung großer Mengen von Hämoglobin in den Urin) führt.
- Komplement-3-Glomerulopathie (C3G) bei Erwachsenen, entweder in Kombination mit einem RAS-Inhibitor (ein Arzneimittel, das auf das Renin-Angiotensin-System wirkt) oder allein bei Patienten, die keinen RAS-Inhibitor anwenden können. C3G ist eine Erkrankung, bei der eine fortschreitende Schädigung der Nieren das korrekte Filtern des Blutes verhindert, was zu Toxinbildung, verminderter Urinproduktion und Schwellungen führt.

PNH und C3G sind selten, und Fabhalta wurde als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel") ausgewiesen. Weitere Informationen zu den Ausweisungen als Arzneimittel für seltene Leiden finden Sie auf den Internetseiten der EMA (PNH: 4. Juni 2020; C3G: 4. Dezember 2018).

Fabhalta enthält den Wirkstoff Iptacopan.

Wie wird Fabhalta angewendet?

Fabhalta ist als Kapseln erhältlich, die zweimal täglich eingenommen werden.

Wenn die Einnahme einer oder mehrerer Dosen vergessen wird, sollte das Arzneimittel so bald wie möglich eingenommen werden. Wenn bei Patienten mit PNH mehrere Dosen versäumt werden, sollten die Patienten auf Anzeichen und Symptome einer Hämolyse (eines anormalen Abbaus der roten Blutkörperchen) überwacht werden.

Das Arzneimittel ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich.

Weitere Informationen zur Anwendung von Fabhalta entnehmen Sie der Packungsbeilage, oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 ● 1083 HS Amsterdam ● The Netherlands
Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us
Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000 ● An agency of the European Union

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

Wie wirkt Fabhalta?

Beim Komplementsystem handelt es sich um eine Gruppe von Proteinen, die Teil des Immunsystems (der natürlichen Abwehr des Körpers) sind. Bei Patienten mit PNH und C3G ist das Komplementsystem überaktiv und schädigt die eigenen Zellen des Patienten, insbesondere die roten Blutkörperchen bei PNH und die Nierenzellen bei C3G.

Der Wirkstoff in Fabhalta, Iptacopan, hemmt ein als „Faktor B" bezeichnetes Protein des Komplementsystems. Durch die Hemmung von Faktor B verhindert Fabhalta, dass das Komplementsystem rote Blutkörperchen bei PNH und Nierenzellen bei C3G schädigt, und trägt so dazu bei, die Symptome dieser Erkrankungen zu lindern.

Welchen Nutzen hat Fabhalta in den Studien gezeigt?

PNH

In einer Hauptstudie, an der 97 Patienten mit PNH teilnahmen, hat sich Fabhalta bei der Erhöhung des Hämoglobinspiegels und der Verringerung des Bedarfs an Bluttransfusionen als wirksam erwiesen.

Die Patienten in der Studie waren zuvor mindestens 6 Monate lang mit Ravulizumab oder Eculizumab (anderen Arzneimitteln gegen PNH) behandelt worden und hatten immer noch Anämie. Die Patienten nahmen entweder Fabhalta ein oder setzten ihre Behandlung mit Ravulizumab oder Eculizumab fort. Nach 24-wöchiger Behandlung betrug der Anteil der Patienten, die ohne Bluttransfusionen einen Anstieg der Hämoglobinwerte von mindestens 2 g/dl erreichten, bei den mit Fabhalta behandelten Patienten etwa 82 %, verglichen mit 2 % der Patienten, die weiterhin Ravulizumab oder Eculizumab einnahmen. Etwa 69 % der Patienten, die Fabhalta einnahmen, erreichten ohne Bluttransfusionen Hämoglobingehalte von mindestens 12 g/dl, verglichen mit etwa 2 % der Patienten, die Ravulizumab oder Eculizumab einnahmen.

Die Daten aus einer zusätzlichen Studie unterstützten die Anwendung von Fabhalta bei Patienten mit PNH, die zuvor nicht behandelt worden waren.

C3G

In einer Hauptstudie, an der 74 Patienten mit C3G teilnahmen, erwies sich Fabhalta bei der Verringerung der Nierenschädigung als wirksamer als Placebo. Die Patienten in der Studie wurden zur Behandlung von C3G bereits mit anderen Arzneimitteln wie RAS-Inhibitoren und Immunsuppressiva (Kortikosteroide, Mycophenolatmofetil oder Mycophenolnatrium) behandelt.

Hauptindikator für die Wirksamkeit waren die Proteinkonzentrationen im Urin der Patienten. Da gesunde Nieren fast alle Proteine im Blut halten, weist das Vorhandensein von Proteinen im Urin auf eine Nierenschädigung hin.

Nach sechsmonatiger Behandlung wiesen die Patienten, die Fabhalta erhielten, eine Verringerung ihrer Urinproteinkonzentrationen um etwa 35 % im Vergleich zu den Patienten, die Placebo erhielten. Diese Wirkung wurde nach zwölfmonatiger Behandlung aufrechterhalten.

Welche Risiken sind mit Fabhalta verbunden?

Die vollständige Auflistung der Nebenwirkungen und Einschränkungen im Zusammenhang mit Fabhalta ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Sehr häufige Nebenwirkungen von Fabhalta (die mehr als 1 von 10 Behandelten betreffen können) bei Patienten mit PNH sind Infektionen der oberen Atemwege (Nase und Rachen), Kopfschmerzen und Durchfall. Eine sehr häufige schwerwiegende Nebenwirkung von Fabhalta ist Harnwegsinfektion

(Infektion der Körperteile, die Urin sammeln und ausscheiden), die bis zu 1 von 10 Behandelten betreffen kann.

Sehr häufige Nebenwirkungen von Fabhalta (die mehr als 1 von 10 Behandelten betreffen können) bei Patienten mit C3G sind Infektionen der oberen Atemwege. Eine sehr häufige schwerwiegende Nebenwirkung ist eine Infektion mit Pneumokokken-Bakterien, die bis zu 1 von 10 Behandelten betreffen kann.

Je nachdem, wie Fabhalta wirkt, kann es das Risiko für Infektionen erhöhen. Fabhalta darf nicht bei Patienten angewendet werden, die an einer andauernden Infektion leiden, die durch sogenannte eingekapselte Bakterien, einschließlich *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* und *Haemophilus influenzae* Typ B, verursacht wird. Es darf auch nicht von Patienten angewendet werden, die derzeit nicht gegen *N. meningitidis* und *S. pneumoniae* geimpft sind, es sei denn, das Risiko einer Verzögerung der Behandlung überwiegt gegenüber dem Risiko der Entwicklung einer Infektion mit diesen Bakterien.

Warum wurde Fabhalta in der EU zugelassen?

Fabhalta hat sich bei der Erhöhung der Hämoglobinwerte und der Verringerung des Bedarfs an Bluttransfusionen bei Patienten mit PNH als wirksam erwiesen. Es wurde auch nachgewiesen, dass es die Akkumulation von Proteinen im Urin von Patienten mit C3G verringert, was auf eine geringere Nierenschädigung hindeutet. Die sehr häufigen Nebenwirkungen werden als unangenehm angesehen, es wird jedoch nicht davon ausgegangen, dass sie ein Risiko für die Patienten darstellen. Die Europäische Arzneimittel-Agentur gelangte daher zu dem Schluss, dass der Nutzen von Fabhalta gegenüber den Risiken überwiegt und dass es in der EU zugelassen werden kann.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Fabhalta ergriffen?

Das Unternehmen, das Fabhalta in Verkehr bringt, wird Ärzten und Patienten Informationsmaterialien zum Risiko einer Infektion durch verkapselte Bakterien und zur Notwendigkeit einer angemessenen Impfung der Patienten zur Verfügung stellen. Für Patienten mit PNH enthalten die Materialien auch Informationen über das Risiko einer schweren Hämolyse beim Absetzen der Behandlung mit Fabhalta.

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Fabhalta, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden auch in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Wie bei allen Arzneimitteln werden Daten zur Anwendung von Fabhalta kontinuierlich überwacht. Gemeldete Verdachtsfälle von Nebenwirkungen von Fabhalta werden sorgfältig ausgewertet und alle notwendigen Maßnahmen zum Schutz der Patienten ergriffen.

Weitere Informationen über Fabhalta

Fabhalta erhielt am 17. Mai 2024 eine Genehmigung für das Inverkehrbringen in der gesamten EU.

Weitere Informationen zu Fabhalta finden Sie auf den Internetseiten der Agentur: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/fabhalta

Diese Übersicht wurde zuletzt im 03-2025 aktualisiert.