



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Fabhalta (ιπτακοπάνη)

Ανασκόπηση του Fabhalta και αιτιολογικό έγκρισης στην ΕΕ

Τι είναι το Fabhalta και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Fabhalta είναι φάρμακο που χρησιμοποιείται για τη θεραπεία:

- της αιμολυτικής αναιμίας σε ενήλικες με παροξυσμική νυχτερινή αιμοσφαιρινουρία (ΠΝΑ). Η ΠΝΑ είναι μια νόσος κατά την οποία η υπερβολική διάσπαση των αιμοσφαιρίων μπορεί να οδηγήσει σε αναιμία (χαμηλά επίπεδα αιμοσφαιρίνης, της πρωτεΐνης στα ερυθρά αιμοσφαίρια που μεταφέρει το οξυγόνο στον οργανισμό), θρόμβωση (θρόμβοι αίματος στα αιμοφόρα αγγεία), πανκυτταροπενία (χαμηλά επίπεδα αιμοσφαιρίων) και σκούρα ούρα (λόγω των μεγάλων ποσοτήτων αιμοσφαιρίνης που απελευθερώνονται στα ούρα).
- της σπειραματοπάθειας C3 (C3G) σε ενήλικες, είτε σε συνδυασμό με αναστολέα RAS (φάρμακο που δρα στο σύστημα ρενίνης-αγγειοτασίνης) είτε ως μονοθεραπεία σε ασθενείς που δεν μπορούν να λάβουν αναστολέα RAS. Η C3G είναι μια νόσος κατά την οποία η προοδευτική βλάβη στους νεφρούς αποτρέπει τη σωστή διήθηση του αίματος, οδηγώντας σε συσσώρευση τοξινών, μειωμένη παραγωγή ούρων και οίδημα.

Η ΠΝΑ και η C3G είναι «σπάνιες» και το Fabhalta χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες παθήσεις). Περισσότερες πληροφορίες για τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού μπορείτε να βρείτε [στον δικτυακό τόπο του EMA](#) (ΠΝΑ: 4 Ιουνίου 2020, C3G: 4 Δεκεμβρίου 2018).

Το Fabhalta περιέχει τη δραστική ουσία ιπτακοπάνη.

Πώς χρησιμοποιείται το Fabhalta;

Το Fabhalta διατίθεται υπό μορφή καψακίων που λαμβάνονται από το στόμα δύο φορές ημερησίως.

Εάν παραλειφθούν μία ή περισσότερες δόσεις, το φάρμακο θα πρέπει να ληφθεί το συντομότερο δυνατόν. Σε ασθενείς με ΠΝΑ, εάν παραλειφθούν πολλαπλές δόσεις, οι ασθενείς θα πρέπει να παρακολουθούνται για σημεία και συμπτώματα αιμόλυσης (μη φυσιολογική διάσπαση των ερυθρών αιμοσφαιρίων).

Το φάρμακο χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή.



Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Fabhalta, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Πώς δρα το Fabhalta;

Το σύστημα του συμπληρώματος είναι ένα σύνολο πρωτεϊνών που αποτελούν τμήμα του ανοσοποιητικού συστήματος (της φυσικής άμυνας του οργανισμού). Σε ασθενείς με ΠΝΑ και C3G, το σύστημα του συμπληρώματος είναι υπερδραστήριο, καταστρέφοντας τα κύτταρα του ίδιου του ασθενούς, ιδίως τα ερυθρά αιμοσφαίρια όταν ο ασθενής πάσχει από ΠΝΑ και τα νεφρικά κύτταρα όταν ο ασθενής πάσχει από C3G.

Η δραστική ουσία του Fabhalta, η ιπτακοπάνη, αναστέλλει μια πρωτεΐνη του συστήματος συμπληρώματος που ονομάζεται «παράγοντας Β». Αναστέλλοντας τη δράση του παράγοντα Β, το Fabhalta προλαμβάνει τη βλάβη που προκαλεί το σύστημα συμπληρώματος στα ερυθρά αιμοσφαίρια στην περίπτωση της ΠΝΑ και στα νεφρικά κύτταρα στην περίπτωση της C3G, συμβάλλοντας με αυτόν τον τρόπο στην ανακούφιση από τα συμπτώματα των εν λόγω νόσων.

Ποια είναι τα οφέλη του Fabhalta σύμφωνα με τις μελέτες;

ΠΝΑ

Στο πλαίσιο μίας κύριας μελέτης στην οποία μετείχαν 97 ασθενείς με ΠΝΑ, το Fabhalta αποδείχθηκε αποτελεσματικό στην αύξηση των επιπέδων αιμοσφαιρίνης και στη μείωση της ανάγκης για μεταγγίσεις αίματος.

Οι ασθενείς που μετείχαν στη μελέτη είχαν υποβληθεί στο παρελθόν σε θεραπεία με ραβουλιζουμάμπη ή εκουλιζουμάμπη (άλλα φάρμακα για την ΠΝΑ) για τουλάχιστον 6 μήνες και εξακολουθούσαν να πάσχουν από αναιμία. Οι ασθενείς έλαβαν είτε Fabhalta είτε συνέχισαν τη θεραπεία τους με ραβουλιζουμάμπη ή εκουλιζουμάμπη. Μετά από 24 εβδομάδες θεραπείας, το ποσοστό των ασθενών που πέτυχαν αύξηση κατά τουλάχιστον 2 g/dL των επιπέδων αιμοσφαιρίνης χωρίς μεταγγίσεις αίματος ήταν περίπου 82 % για τους ασθενείς που έλαβαν Fabhalta, σε σύγκριση με το 2 % που ήταν το αντίστοιχο ποσοστό για τους ασθενείς που συνέχισαν να λαμβάνουν ραβουλιζουμάμπη ή εκουλιζουμάμπη. Περίπου το 69 % των ασθενών που έλαβαν Fabhalta πέτυχαν επίπεδα αιμοσφαιρίνης τουλάχιστον 12 g/dL χωρίς μεταγγίσεις αίματος, σε σύγκριση με το 2 % περίπου των ασθενών που έλαβαν ραβουλιζουμάμπη ή εκουλιζουμάμπη.

Τα δεδομένα από μια πρόσθετη μελέτη υποστήριξαν τη χρήση του Fabhalta σε ασθενείς με ΠΝΑ οι οποίοι δεν είχαν ακολουθήσει προηγούμενη θεραπεία.

C3G

Σε μία κύρια μελέτη στην οποία μετείχαν 74 ασθενείς με C3G, το Fabhalta αποδείχθηκε πιο αποτελεσματικό από το εικονικό φάρμακο στη μείωση της νεφρικής βλάβης. Οι ασθενείς που μετείχαν στη μελέτη είχαν ήδη λάβει θεραπεία για την C3G με άλλα φάρμακα, όπως αναστολείς RAS και ανοσοκατασταλτικά (κορτικοστεροειδή, μυκοφαινόλη μοφετίλ ή μυκοφαινόλικό νάτριο).

Ο βασικός δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας ήταν τα επίπεδα πρωτεϊνών στα ούρα των ασθενών. Εφόσον οι υγιείς νεφροί διατηρούν σχεδόν όλες τις πρωτεΐνες στο αίμα, η παρουσία πρωτεϊνών στα ούρα υποδηλώνει νεφρική βλάβη.

Μετά από 6 μήνες θεραπείας, οι ασθενείς που έλαβαν Fabhalta παρουσίασαν μείωση των επιπέδων πρωτεΐνης στα ούρα κατά περίπου 35 % σε σύγκριση με τους ασθενείς που έλαβαν εικονικό φάρμακο. Η επίδραση αυτή διατηρήθηκε μετά από 12 μήνες θεραπείας.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Fabhalta;

Για τον πλήρη κατάλογο των ανεπιθύμητων ενεργειών και των περιορισμών που αναφέρθηκαν με το Fabhalta, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης.

Στους ασθενείς με ΠΝΑ, οι πιο συχνές ανεπιθύμητες ενέργειες με το Fabhalta (ενδέχεται να εμφανιστούν σε περισσότερους από 1 στους 10 ασθενείς) είναι λοιμώξεις της άνω αναπνευστικής οδού (μύτης και φάρυγγα), κεφαλαλγία και διάρροια. Η πιο συχνή σοβαρή ανεπιθύμητη ενέργεια με το Fabhalta είναι η λοίμωξη του ουροποιητικού συστήματος (λοίμωξη των μερών του σώματος που συλλέγουν και αποβάλλουν τα ούρα), η οποία ενδέχεται να εμφανιστεί σε έως και 1 στους 10 ασθενείς.

Σε ασθενείς με C3G, η πιο συχνή ανεπιθύμητη ενέργεια με το Fabhalta (ενδέχεται να εμφανιστεί σε περισσότερους από 1 στους 10 ασθενείς) είναι λοίμωξη της άνω αναπνευστικής οδού. Η πιο συχνή σοβαρή ανεπιθύμητη ενέργεια είναι η λοίμωξη από πνευμονιοκοκκικά βακτήρια, η οποία μπορεί να εμφανιστεί σε έως και 1 στους 10 ασθενείς.

Βάσει του τρόπου δράσης του Fabhalta, μπορεί να αυξηθεί ο κίνδυνος λοιμώξεων. Το Fabhalta δεν πρέπει να χορηγείται σε ασθενείς με εν εξελίξει λοίμωξη που έχει προκληθεί από τα αποκαλούμενα ενθυλακωμένα βακτήρια, συμπεριλαμβανομένων των *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* και *Haemophilus influenzae* τύπου B. Επίσης, δεν πρέπει να χορηγείται σε ασθενείς που δεν έχουν προσφάτως εμβολιαστεί κατά των βακτηρίων *N. meningitidis* και *S. pneumoniae*, εκτός εάν ο κίνδυνος καθυστέρησης της θεραπείας υπερτερεί του κινδύνου ανάπτυξης λοίμωξης από τα εν λόγω βακτήρια.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Fabhalta στην ΕΕ;

Το Fabhalta αποδείχθηκε αποτελεσματικό στην αύξηση των επιπέδων αιμοσφαιρίνης και στη μείωση της ανάγκης για μεταγγίσεις αίματος σε ασθενείς με ΠΝΑ. Αποδείχθηκε επίσης ότι μειώνει τη συσσώρευση πρωτεϊνών στα ούρα των ασθενών με C3G, γεγονός που υποδηλώνει μείωση της νεφρικής βλάβης. Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες είναι ενοχλητικές, αλλά δεν αναμένεται να θέσουν σε κίνδυνο τους ασθενείς. Ως εκ τούτου, ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων αποφάσισε ότι τα οφέλη του Fabhalta υπερτερούν των διαπιστωθέντων κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την έγκριση του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Fabhalta;

Η εταιρεία που εμπορεύεται το Fabhalta θα παράσχει εκπαιδευτικό υλικό στους γιατρούς και τους ασθενείς σχετικά με τον κίνδυνο λοίμωξης από ενθυλακωμένα βακτήρια και την ανάγκη κατάλληλου εμβολιασμού των ασθενών. Για τους ασθενείς με ΠΝΑ, το υλικό περιλαμβάνει επίσης πληροφορίες σχετικά με τον κίνδυνο σοβαρής αιμόλυσης κατά τη διακοπή της θεραπείας με Fabhalta.

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν επίσης συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Fabhalta.

Όπως για όλα τα φάρμακα, τα δεδομένα για τη χρήση του Fabhalta τελούν υπό συνεχή παρακολούθηση. Οι πιθανολογούμενες ανεπιθύμητες ενέργειες που αναφέρονται για το Fabhalta αξιολογούνται προσεκτικά και λαμβάνονται όλα τα απαραίτητα μέτρα για την προστασία των ασθενών.

Λοιπές πληροφορίες για το Fabhalta

Το Fabhalta έλαβε άδεια κυκλοφορίας, η οποία ισχύει σε ολόκληρη την ΕΕ, στις 17 Μαΐου 2024.

Περισσότερες πληροφορίες για το Fabhalta διατίθενται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/fabhalta

Τελευταία ενημέρωση της ανασκόπησης: 03-2025.