



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Fabhalta (*iptacopan*)

Información general sobre Fabhalta y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

¿Qué es Fabhalta y para qué se utiliza?

Fabhalta es un medicamento que se utiliza para el tratamiento de:

- anemia hemolítica en adultos con hemoglobinuria paroxismal nocturna (HPN). La HPN es una enfermedad en la que la excesiva degradación de las células sanguíneas provoca anemia (niveles bajos de hemoglobina, la proteína de los glóbulos rojos que transporta el oxígeno por todo el organismo), trombosis (coágulos de sangre en los vasos sanguíneos), pancitopenia (niveles bajos de células sanguíneas) y orina oscura (debido a que grandes cantidades de hemoglobina se liberan en la orina).
- glomerulopatía del complemento 3 (C3G) en adultos, ya sea en combinación con un inhibidor del SRA (un medicamento que actúa sobre el sistema renina-angiotensina) o en monoterapia en pacientes que no pueden tomar un inhibidor del SRA. C3G es una enfermedad en la que el deterioro progresivo de los riñones les impide filtrar correctamente la sangre, lo que provoca la formación de toxinas, una reducción de la producción de orina y la hinchazón.

La HPN y la C3G son enfermedades raras, y Fabhalta fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras). Puede encontrar más información sobre las designaciones de medicamentos huérfanos en el [sitio web de la EMA](#) (HPN: 4 de junio de 2020; C3G: 4 de diciembre de 2018).

Fabhalta contiene el principio activo iptacopán.

¿Cómo se usa Fabhalta?

Fabhalta se presenta en cápsulas que se toman por vía oral dos veces al día.

Si se olvida una o más dosis, el medicamento debe tomarse lo antes posible. En pacientes con HPN, si se pierden varias dosis, se debe vigilar a los pacientes para detectar signos y síntomas de hemólisis (una descomposición anormal de los glóbulos rojos).

Este medicamento solo se podrá dispensar con receta médica.



Si desea más información sobre el uso de Fabhalta, lea el prospecto o consulte a su médico o farmacéutico.

¿Cómo actúa Fabhalta?

El sistema del complemento es un conjunto de proteínas que forma parte del sistema inmunitario (las defensas naturales del organismo). En pacientes con HPN y C3G, el sistema de complemento es excesivamente activo, lo que daña las propias células de los pacientes, en particular los glóbulos rojos en la HPN y las células renales en C3G.

El principio activo de Fabhalta, el iptacopán, bloquea una proteína del sistema del complemento denominada «factor B». Al bloquear el factor B, Fabhalta impide que el sistema de complemento dañe los glóbulos rojos en la HPN y las células renales en la C3G, contribuyendo así a aliviar los síntomas de estas enfermedades.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Fabhalta en los estudios realizados?

HPN

Fabhalta demostró ser eficaz para aumentar los niveles de hemoglobina y reducir la necesidad de transfusiones de sangre en un estudio principal en el que participaron 97 pacientes con HPN.

Los pacientes del estudio habían sido tratados previamente con ravulizumab o eculizumab (otros medicamentos para la HPN) durante al menos 6 meses y seguían padeciendo anemia. Los pacientes tomaron Fabhalta o continuaron su tratamiento con ravulizumab o eculizumab. Al cabo de 24 semanas de tratamiento, el porcentaje de pacientes que lograron un aumento de los niveles de hemoglobina de al menos 2 g/dl sin transfusiones sanguíneas fue de alrededor del 82 % en los pacientes que tomaron Fabhalta, en comparación con el 2 % de los pacientes que continuaron con ravulizumab o eculizumab. Alrededor del 69 % de los pacientes que tomaron Fabhalta alcanzaron niveles de hemoglobina de al menos 12 g/dl sin transfusiones de sangre, en comparación con alrededor del 2 % de los pacientes que tomaron ravulizumab o eculizumab.

Los datos de un estudio adicional apoyaron el uso de Fabhalta en pacientes con HPN que no habían sido tratados previamente.

C3G

Fabhalta demostró ser más eficaz que el placebo para reducir el daño renal en un estudio principal en el que participaron 74 pacientes con C3G. Los pacientes del estudio ya habían recibido tratamiento para el C3G con otros medicamentos, como inhibidores del RAS e inmunosupresores (corticosteroides, micofenolato mofetil o micofenolato sódico).

El criterio principal de valoración de la eficacia fue la concentración de proteínas en la orina de los pacientes. Dado que los riñones sanos mantienen casi todas las proteínas en la sangre, la presencia de proteínas en la orina indica daño renal.

Al cabo de 6 meses de tratamiento, los pacientes a los que se administró Fabhalta registraron una reducción de aproximadamente un 35 % de sus niveles de proteínas en la orina en comparación con los tratados con placebo. Este efecto se mantuvo después de 12 meses de tratamiento.

¿Cuáles son los riesgos asociados a Fabhalta?

La lista completa de efectos adversos y restricciones de Fabhalta se puede consultar en el prospecto.

En los pacientes de HPN, los efectos adversos más frecuentes de Fabhalta (que pueden afectar a más de 1 de cada 10 personas) son infección de las vías respiratorias superiores (nariz y garganta), dolor de cabeza y diarrea. El efecto adverso grave más frecuente de Fabhalta es la infección urinaria (infección de las partes del cuerpo que recogen y eliminan la orina), que puede afectar hasta a 1 de cada 10 pacientes.

En los pacientes con C3G, los efectos adversos más frecuentes de Fabhalta (que pueden afectar a más de 1 de cada 10 pacientes) incluyen infecciones de las vías respiratorias superiores. El efecto adverso grave más frecuente es la infección por bacterias neumocócicas, que puede afectar hasta a 1 de cada 10 personas.

Basándose en su mecanismo de acción, Fabhalta puede aumentar el riesgo de infecciones. Fabhalta no debe administrarse a pacientes que tengan una infección continua causada por las denominadas bacterias encapsuladas, como *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* o *Haemophilus influenzae* de tipo B. Tampoco debe administrarse a pacientes que no estén vacunados actualmente contra *N. meningitidis* o *S. pneumoniae*, a menos que el riesgo de retrasar el tratamiento supere el riesgo de desarrollar una infección por estas bacterias.

¿Por qué se ha autorizado Fabhalta en la UE?

Fabhalta demostró ser eficaz para aumentar los niveles de hemoglobina y reducir la necesidad de transfusiones de sangre en los pacientes con HPN. También se demostró que reduce la acumulación de proteínas en la orina de los pacientes con C3G, lo que sugiere una disminución de los daños renales. Los efectos adversos más frecuentes se consideran inconvenientes, pero no se espera que supongan un riesgo para los pacientes. La Agencia Europea de Medicamentos decidió que los beneficios de Fabhalta eran mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Fabhalta?

La compañía que comercializa Fabhalta proporcionará a los médicos y pacientes materiales educativos sobre el riesgo de infección por bacterias encapsuladas y la necesidad de que los pacientes reciban una vacunación adecuada. En el caso de los pacientes con HPN, los materiales también incluyen información sobre el riesgo de hemólisis grave al interrumpir el tratamiento con Fabhalta.

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Fabhalta se han incluido también en la ficha técnica o resumen de las características del producto y en el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Fabhalta se controlan de forma continua. Los supuestos efectos adversos notificados de Fabhalta se evalúan cuidadosamente, y se adoptan las medidas que puedan resultar necesarias para proteger a los pacientes.

Otra información sobre Fabhalta

Fabhalta recibió una autorización de comercialización válida en toda la UE el 17 de mayo de 2024.

Puede encontrar más información sobre Fabhalta en la página web de la Agencia:

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

Fecha de la última actualización del presente resumen: 03-2025.