



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Fabhalta (*iptakopaan*)

Ülevaade ravimist Fabhalta ja ELis müügiloa väljastamise põhjendus

Mis on Fabhalta ja milleks seda kasutatakse?

Fabhalta on ravim, mida kasutatakse järgmiste seisundite raviks:

- Hemolüütiline aneemia paroksüsmaalse öise hemoglobinuuriaga täiskasvanutel. Paroksüsmaalne öine hemoglobinuuria on haigus, mille korral põhjustab vererakkude liigne lagunemine aneemiat (hemoglobiini, organismis hapnikku transportiva erütrotsüütide valgu vähesus), tromboosi (trombid ehk soonesisesed verehüübed), pantsütopeeniat (vererakkude vähesus) ja tumedat uriini (suur hemoglobiinisaldus uriinis).
- Komplementi C3 glomerulopaatia täiskasvanutel kas koos RAS-inhibiitoriga (reniin-angiotensiinsüsteemi mõjutav ravim) või ainuravimina patsientidel, kes ei saa kasutada RAS-inhibiitorit. Komplementi C3 glomerulopaatia on haigus, mille korral neerude järkjärguline kahjustumine takistab vere normaalselt filtreerimist, mis põhjustab toksiinide kogunemist, uriini tekke vähenemist ja turset.

Paroksüsmaalne öine hemoglobinuuria ja komplementi C3 glomerulopaatia esinevad harva ja Fabhalta nimetati harvikravimiks. Lisateave harvikravimiks nimetamise kohta on [EMA veebilehel](#) (paroksüsmaalne öine hemoglobinuuria: 4. juuni 2020; komplementi C3 glomerulopaatia: 4. detsember 2018).

Fabhalta sisaldab toimeainet iptakopaani.

Kuidas Fabhaltat kasutatakse?

Fabhaltat turustatakse suukaudsete kapslitena, mida võetakse kaks korda ööpäevas.

Kui üks või mitu annust jääb vahele, tuleb ravim võtta võimalikult kiiresti. Kui paroksüsmaalse öise hemoglobinuuriaga patsientidel jääb mitu annust võtmata, tuleb patsiente jälgida hemolüüsi (erütrotsüütide ehk vere punaliblede ebanormaalse lagunemise) nähtude ja sümptomite suhtes.

Fabhalta on retseptiravim.

Lisateavet Fabhalta kasutamise kohta saate pakendi infolehel või küsige oma arstilt või apteekrilt.



Kuidas Fabhalta toimib?

Komplemendisüsteem on valkude kogum, mis on osa immuunsüsteemist (organismi looduslikest kaitsemehhanismidest). Paroksüsmaalse öise hemoglobinuuria ja komplemendi C3 glomerulopaatia patsientidel on komplemendisüsteem liiga aktiivne, kahjustades patsientide endi rakke, eelkõige erütrotsüüte (paroksüsmaalse öise hemoglobinuuria korral) ja neerurakke (komplemendi C3 glomerulopaatia korral).

Fabhalta toimeaine iptakopaan blokeerib komplemendisüsteemi valgu faktor B. Faktor B blokeerimisega takistab Fabhalta komplemendisüsteemi kahjustamast paroksüsmaalse öise hemoglobinuuria korral erütrotsüüte ja komplemendi C3 glomerulopaatia korral neerurakke, leevendades nii nende haiguste sümptomeid.

Mis on uuringute põhjal Fabhalta kasulikkus?

Paroksüsmaalne öine hemoglobinuuria

Ühes põhiuuringus, milles osales 97 paroksüsmaalse öise hemoglobinuuriaga patsienti, tõendati Fabhalta efektiivsust hemoglobiinisalduse suurendamisel ja vereülekannete vajaduse vähendamisel.

Uuringus osalenud patsiente oli varem ravitud ravulisumabi või ekulisumabiga (samuti paroksüsmaalse öise hemoglobinuuria ravimid) vähemalt 6 kuud ja neil oli endiselt aneemia. Patsiendid kasutasid kas Fabhaltat või jätkasid ravi ravulisumabi või ekulisumabiga. 24 ravinädala järel oli patsiente, kes saavutasid ilma vereülekandeta hemoglobiinisalduse suurenemise vähemalt 2 g/dl, Fabhaltat saanutest ligikaudu 82% ning ravulisumabi või ekulisumabiga ravi jätkanutest 2%. Patsiente, kes saavutasid ilma vereülekandeta hemoglobiinisalduse vähemalt 12 g/dl, oli Fabhaltat saanutest ligikaudu 69% ja ravulisumabit või ekulisumabit saanutest ligikaudu 2%.

Lisauuringu andmed toetasid Fabhalta kasutamist varem ravimata paroksüsmaalse öise hemoglobinuuriaga patsientidel.

Komplemendi C3 glomerulopaatia

Ühes põhiuuringus, milles osales 74 komplemendi C3 glomerulopaatia patsienti, oli Fabhalta tõendatult neerukahjustuse vähendamisel efektiivsem kui platseebo. Uuringus osalenud patsientidel raviti komplemendi C3 glomerulopaatiat juba muude ravimitega, nt RAS-inhibiitorite ja immunosupressantidega (kortikosteroidid, mükofenolaatmofetiil või mükofenolaatnaatrium).

Efektiivsuse põhinäitaja oli patsientide uriini valgusisaldus. Kuna terved neerud hoiavad peaaegu kõiki valke veres, viitab valkude esinemine uriinis neerukahjustusele.

Pärast 6-kuulist ravi vähenes Fabhaltat saanud patsientidel uriini valgusisaldus ligikaudu 35% võrreldes platseebot saanud patsientidega. See toime säilis pärast 12-kuulist ravi.

Mis on Fabhalta riskid?

Fabhalta kõrvalnähtude ja piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

Paroksüsmaalse öise hemoglobinuuriaga patsientidel on Fabhalta kõige sagedamad kõrvalnähud (võivad esineda enam kui 1 patsiendil 10st) näiteks ülemiste hingamisteede (nina ja kurgu) infektsioon, peavalu ja kõhulahtisus. Fabhalta kõige sagedam raske kõrvalnäht on kuseteede infektsioon, mis võib esineda kuni 1 patsiendil 10st.

Komplemendi C3 glomerulopaatiaga patsientidel on Fabhalta kõige sagedamad kõrvalnähud (võivad esineda enam kui 1 patsiendil 10st) näiteks ülemiste hingamisteede infektsioon. Kõige sagedam raske kõrvalnäht on pneumokokkbakterite infektsioon, mis võib esineda kuni 1 patsiendil 10st.

Fabhalta toimemehhanism võib suurendada infektsioonide riski. Fabhaltat ei tohi kasutada patsiendid, kellel on aktiivne infektsioon, mida põhjustavad teatud bakterid (kapselkestaga bakterid), sh *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* ja *Haemophilus influenzae* B-tüüp. Samuti ei tohi Fabhaltat kasutada patsiendid, kes ei ole praegu vaktsineeritud bakterite *N. meningitidis* ja *S. pneumoniae* vastu, v.a kui ravi edasilükkamise risk on suurem kui nende bakterite põhjustatud infektsiooni tekke risk.

Miks Fabhalta ELis heaks kiideti?

Tõendati, et Fabhalta on efektiivne paroksüsmaalse öise hemoglobinuuriaga patsientidel hemoglobiinisalduse suurendamisel ja vereülekannete vajaduse vähendamisel. Samuti tõendati, et ravim vähendab komplemendi C3 glomerulopaatiaga patsientidel valkude kogunemist uriini, mis viitab neerukahjustuse vähenemisele. Kõige sagedamad kõrvalnähud on ebamugavad, kuid need ei kujuta eeldatavasti ohtu patsientidele. Euroopa Raviamet otsustas seetõttu, et Fabhalta kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid ja ravimi kasutamise võib ELis heaks kiita.

Mis meetmed võetakse, et tagada Fabhalta ohutu ja efektiivne kasutamine?

Fabhalta turustaja annab arstidele ja patsientidele teabematerjalid kapselkestaga bakterite põhjustatud infektsiooni riski ja patsientide asjakohase vaktsineerimise vajaduse kohta. Paroksüsmaalse öise hemoglobinuuriaga patsientide teabematerjal sisaldab ka teavet raske hemolüüsi riski kohta Fabhalta-ravi katkestamisel.

Fabhalta ohutu ja efektiivse kasutamise soovitused ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on samuti lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite korral, tehakse Fabhalta kasutamise kohta pidevat järelvalvet. Fabhalta oletatavaid teatatud kõrvalnähte hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks võetakse vajalikke meetmeid.

Muu teave Fabhalta kohta

Fabhalta on saanud müügiloa, mis kehtib kogu ELis, 17. mail 2024.

Lisateave Fabhalta kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/fabhalta

Kokkuvõtte viimane uuendus: 03-2025.