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

Fabhalta *(iptakopaani)*

Yleistiedot Fabhalta-valmisteesta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Fabhalta on ja mihin sitä käytetään?

Fabhalta on lääke, jolla hoidetaan seuraavia sairauksia:

- hemolyyttinen anemia aikuisilla, joilla on kohtauksittainen yöllinen hemoglobinuria (PNH). PNH on sairaus, jossa verisolujen liiallinen hajoaminen johtaa anemiaan (alhainen hemoglobiinipitoisuus; hemoglobiini on veren punasolujen proteiini, joka kuljettaa happea kehon eri osiin), tromboosiin (verihyytymät verisuonissa), pansytopeniaan (alhainen verisolujen määrä) ja virtsan tummuuteen (koska virtsaan vapautuu suuria määriä hemoglobiinia).
- komplementin 3 glomerulopatia (C3G) aikuisilla, joko yhdessä RAS-estäjän (reniini-angiotensiinijärjestelmään vaikuttava lääke) kanssa tai yksinään potilailla, jotka eivät voi käyttää RAS-estäjää. C3G on sairaus, jossa munuaisten etenevä vaurioituminen estää niitä suodattamasta verta oikein, mikä johtaa toksiinin muodostumiseen, virtsantuotannon vähenemiseen ja turvotukseen.

PNH ja C3G ovat harvinaisia sairauksia, ja Fabhalta nimettiin ns. harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke). Lisätietoja harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on EMAn verkkosivustolla (PNH: 4. kesäkuuta 2020; C3G: 4. joulukuuta 2018).

Fabhaltan vaikuttava aine on iptakopaani.

Miten Fabhaltaa käytetään?

Fabhaltaa on saatavana kapseleina, jotka otetaan suun kautta kahdesti vuorokaudessa.

Jos yksi tai useampi annos jää väliin, lääke on otettava mahdollisimman pian. Jos PNH-potilaalla jää väliin useita annoksia, potilasta on seurattava hemolyysin (punasolujen poikkeavan hajoamisen) merkkien ja oireiden varalta.

Lääkevalmistetta saa ainoastaan lääkärin määräyksestä.

Lisätietoja Fabhalta-valmisteen käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

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

Miten Fabhalta vaikuttaa?

Komplementtijärjestelmä on joukko proteiineja, jotka ovat osa immuunijärjestelmää (kehon luonnollista puolustusmekanismia). PNH- ja C3G-potilailla komplementtijärjestelmä on yliaktiivinen ja vahingoittaa potilaiden omia soluja, PNH:ssa etenkin veren punasoluja ja C3G:ssä munuaissoluja.

Fabhaltan vaikuttava aine iptakopaani estää tekijä B:ksi kutsutun komplementtijärjestelmän proteiinin toimintaa. Estämällä tekijä B:n toiminnan Fabhalta estää komplementtijärjestelmää vahingoittamasta punasoluja PNH:ssa ja munuaissoluja C3G:ssä ja auttaa siten lievittämään näiden sairauksien oireita.

Mitä hyötyä Fabhaltasta on havaittu tutkimuksissa?

PNH

Yhdessä päätutkimuksessa, johon osallistui 97 PNH-potilasta, Fabhaltan osoitettiin nostavan tehokkaasti hemoglobiinipitoisuutta ja vähentävän verensiirtojen tarvetta.

Tutkimukseen osallistuneita potilaita oli hoidettu aiemmin ravulitsumabilla tai ekulitsumabilla (muita PNH-lääkkeitä) vähintään kuuden kuukauden ajan, ja heillä oli edelleen anemia. Potilaat saivat joko Fabhaltaa tai jatkoivat hoitoa ravulitsumabilla tai ekulitsumabilla. 24 hoitoviikon jälkeen niiden potilaiden osuus, joiden hemoglobiinipitoisuus oli noussut vähintään 2 g/dl ilman verensiirtoja, oli noin 82 prosenttia Fabhaltaa saaneista potilaista, kun ravulitsumabia tai ekulitsumabia saaneista potilailla vastaava osuus oli 2 prosenttia. Noin 69 prosentilla Fabhaltaa saaneista potilaista hemoglobiinipitoisuus oli vähintään 12 g/dl ilman verensiirtoja, kun ravulitsumabia tai ekulitsumabia saaneilla potilailla vastaava osuus oli noin 2 prosenttia.

Lisätutkimuksesta saadut tiedot tukivat Fabhaltan käyttöä PNH-potilailla, joita ei ollut hoidettu aiemmin.

C3G

Yhdessä päätutkimuksessa, johon osallistui 74 C3G:tä sairastavaa potilasta, Fabhalta osoittautui lumelääkettä tehokkaammaksi munuaisvaurioiden vähentämisessä. Tutkimukseen osallistuneiden potilaiden C3G:tä oli jo hoidettu muilla lääkkeillä, kuten RAS-estäjillä ja immunosuppressoreilla (kortikosteroidit, mykofenolaattimofetiili tai mykofenolaattinatrium).

Tehon pääasiallisena mittana oli potilaiden virtsan proteiinipitoisuus. Koska terveet munuaiset pitävät lähes kaikki proteiinit veressä, proteiinien esiintyminen virtsassa on merkki munuaisvauriosta.

Kuuden kuukauden hoidon jälkeen Fabhaltaa saaneiden potilaiden virtsan proteiinipitoisuus oli laskenut noin 35 prosenttia lumelääkettä saaneisiin potilaisiin verrattuna. Tämä vaikutus säilyi 12 kuukauden hoidon jälkeen.

Mitä riskejä Fabhaltaan liittyy?

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Fabhaltan ilmoitetuista haittavaikutuksista ja rajoituksista.

PNH-potilailla Fabhaltan yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat ylähengitysteiden infektiot (nenän ja nielun infektiot), päänsärky ja ripuli. Fabhaltan yleisin vakava haittavaikutus on virtsatieinfektio, jota saattaa aiheutua enintään yhdelle potilaalle kymmenestä.

C3G-potilailla Fabhaltan yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat ylähengitysteiden infektiot. Yleisin vakava haittavaikutus on pneumokokkibakteerien aiheuttama infektio, jota voi aiheutua enintään yhdelle potilaalle kymmenestä.

Vaikutusmekanisminsa takia Fabhalta voi lisätä infektioiden riskiä. Fabhaltaa ei saa antaa potilaille, joilla on nk. kapselillisten bakteerien, mukaan lukien *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* ja *Haemophilus influenzae*, tyyppi B, aiheuttama meneillään oleva infektio. Sitä eivät myöskään saa käyttää potilaat, joita ei ole tällä hetkellä rokotettu *N. meningitidis*- ja *S. pneumoniae* -bakteeria vastaan, paitsi jos hoidon viivästyttämisestä aiheutuva riski on suurempi kuin näiden bakteerien aiheuttaman infektion kehittymisen riski.

Miksi Fabhalta on hyväksytty EU:ssa?

Fabhaltan osoitettiin nostavan tehokkaasti hemoglobiinipitoisuutta ja vähentävän verensiirtojen tarvetta PNH-potilailla. Sen osoitettiin myös vähentävän proteiinien kertymistä C3G-potilaiden virtsaan, mikä viittaa munuaisvaurioiden vähenemiseen. Yleisimpiä haittavaikutuksia pidetään epämukavina, mutta niiden ei odoteta aiheuttavan riskiä potilaille. Euroopan lääkevirasto katsoi, että Fabhaltan hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Miten voidaan varmistaa Fabhaltan turvallinen ja tehokas käyttö?

Fabhaltaa markkinoiva yhtiö toimittaa lääkäreille ja potilaille perehdytysaineistoa kapselillisten bakteerien aiheuttamasta infektioriskistä ja siitä, että potilaille on annettava asianmukainen rokote. PNH-potilaiden osalta materiaaleissa on myös tietoa vakavan hemolyysin riskistä Fabhalta-hoidon lopettamisen yhteydessä.

Suositukset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Fabhaltan käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät myös valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Fabhalta-valmisteen käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Fabhalta-valmisteesta ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Fabhaltasta

Fabhalta sai koko EU:n alueella voimassa olevan myyntiluvan 17. toukokuuta 2024.

Lisätietoja Fabhaltasta on viraston verkkosivustolla osoitteessa
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/fabhalta

Tämä yhteenveto on päivitetty viimeksi 3-2025.