



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Fabhalta (*iptakopan*)

Pregled informacija o lijeku Fabhalta i zašto je odobren u EU-u

Što je Fabhalta i za što se koristi?

Fabhalta se koristi za liječenje:

- hemolitičke anemije u odraslih osoba s paroksizmalnom noćnom hemoglobinurijom (PNH). PNH je bolest u kojoj prekomjerna razgradnja krvnih stanica uzrokuje anemiju (nisku razinu hemoglobina, proteina u crvenim krvnim stanicama koji prenosi kisik kroz tijelo), trombozu (krvne ugruške u krvnim žilama), pancitopeniju (nisku razinu krvnih stanica) i tamni urin (zbog velike količine hemoglobina koji se otpušta u urin).
- glomerulopatije komplementa 3 (engl. *complement 3 glomerulopathy*, C3G) u odraslih osoba, bilo u kombinaciji s inhibitorom RAS-a (lijekom koji djeluje na renin-angiotenzinski sustav) ili kao monoterapija u bolesnika koji ne mogu uzimati inhibitor RAS-a. C3G je bolest kod koje progresivno oštećenje bubrega sprječava bubrege da ispravno filtriraju krv, što dovodi do nakupljanja toksina, smanjene proizvodnje urina i oticanja.

PNH i C3G rijetke su bolesti, a lijek Fabhalta dobio je status „lijeka za rijetku bolest“. Više informacija o statusu lijeka za rijetku bolest dostupno je na [mrežnom mjestu EMA-e](#) (PNH: 4. lipnja 2020.; C3G: 4. prosinca 2018.).

Fabhalta sadrži djelatnu tvar iptakopan.

Kako se Fabhalta primjenjuje?

Lijek Fabhalta dostupan je u obliku kapsula koje se uzimaju kroz usta dvaput dnevno.

Ako se propusti jedna ili više doza, lijek treba uzeti što je prije moguće. U bolesnika s PNH-om, ako je propušteno više doza, bolesnike treba pratiti kako bi se uočili znakovi i simptomi hemolize (abnormalne razgradnje crvenih krvnih stanica).

Lijek se izdaje samo na recept.

Za više informacija o primjeni lijeka Fabhalta pročitajte uputu o lijeku odnosno obratite se liječniku ili ljekarniku.



Kako djeluje Fabhalta?

Sustav komplementa čini niz proteina i on je dio imunskog sustava (prirodne obrane organizma). U bolesnika s PNH-om i C3G-om sustav komplementa prekomjerno je aktivan i oštećuje vlastite stanice bolesnika, posebno crvene krvne stanice u PNH-u i stanice bubrega u C3G-u.

Djelatna tvar lijeka Fabhalta, iptakopan, blokira protein sustava komplementa koji se naziva „faktor B”. Blokiranjem faktora B Fabhalta sprječava sustav komplementa da oštećuje crvene krvne stanice u PNH-u i stanice bubrega u C3G-u, čime pomaže u ublažavanju simptoma tih bolesti.

Koje su koristi od lijeka Fabhalta utvrđene u ispitivanjima?

PNH

Lijek Fabhalta pokazao se učinkovitim u povećanju razina hemoglobina i smanjenju potrebe za transfuzijama krvi u jednom glavnom ispitivanju kojim je bilo obuhvaćeno 97 bolesnika s PNH-om.

Bolesnici koji su sudjelovali u ispitivanju prethodno su bili liječeni ravulizumabom ili ekulizumabom (drugim lijekovima protiv PNH-a) tijekom najmanje šest mjeseci, no i dalje su imali anemiju. Bolesnici su uzimali lijek Fabhalta ili su nastavili liječenje ravulizumabom ili ekulizumabom. Nakon 24 tjedna liječenja postotak bolesnika u kojih se razina hemoglobina povećala najmanje 2 g/dl bez transfuzija krvi iznosio je otprilike 82 % u bolesnika koji su primali lijek Fabhalta, u usporedbi s 2 % bolesnika koji su nastavili uzimati ravulizumab ili ekulizumab. U otprilike 69 % bolesnika koji su uzimali lijek Fabhalta postignuta je razina hemoglobina od najmanje 12 g/dl bez transfuzija krvi, u usporedbi s otprilike 2 % bolesnika koji su uzimali ravulizumab ili ekulizumab.

Podatci iz dodatnog ispitivanja potkrijepili su primjenu lijeka Fabhalta u bolesnika s PNH-om koji prethodno nisu bili liječeni.

C3G

Lijek Fabhalta pokazao se učinkovitijim od placeba u smanjenju oštećenja bubrega u jednom glavnom ispitivanju u kojem su sudjelovala 74 bolesnika s C3G-om. Bolesnici koji su sudjelovali u ispitivanju već su bili liječeni od C3G-a drugim lijekovima kao što su inhibitori RAS-a i imunosupresivi (kortikosteroidi, mofetilmikofenolat ili natrijev mikofenolat).

Glavno mjerilo učinkovitosti bila je razina proteina u mokraći bolesnika. Budući da zdravi bubrezi zadržavaju gotovo sve proteine u krvi, prisutnost proteina u mokraći upućuje na oštećenje bubrega.

Nakon šest mjeseci liječenja u bolesnika koji su primali lijek Fabhalta razina proteina u mokraći smanjila se za otprilike 35 % u usporedbi s bolesnicima koji su primali placebo. Taj se učinak održao nakon 12 mjeseci liječenja.

Koji su rizici povezani s lijekom Fabhalta?

Potpuni popis nuspojava i ograničenja povezanih s lijekom Fabhalta potražite u uputi o lijeku.

U bolesnika s PNH-om najčešće nuspojave lijeka Fabhalta (koje se mogu javiti u više od 1 na 10 osoba) jesu infekcije gornjih dišnih puteva (nosa i grla), glavobolja i proljev. Najčešća ozbiljna nuspojava lijeka Fabhalta jest infekcija mokraćnog sustava (infekcija dijelova tijela koji sakupljaju i izlučuju mokraću), koja se može javiti u manje od 1 na 10 bolesnika.

U bolesnika s C3G-om najčešće nuspojave lijeka Fabhalta (koje se mogu javiti u više od 1 na 10 osoba) uključuju infekciju gornjih dišnih puteva. Najčešća ozbiljna nuspojava jest pneumokokna infekcija, koja se može javiti u manje od 1 na 10 osoba.

S obzirom na svoj način djelovanja, lijek Fabhalta može povećati rizik od infekcija. Lijek Fabhalta ne smiju primati bolesnici s neizliječenom infekcijom uzrokovanom takozvanim inkapsuliranim bakterijama, uključujući bakterije *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* i *Haemophilus influenzae* tipa B. Ne smije se primjenjivati ni u bolesnika koji trenutačno nisu cijepljeni protiv bakterija *N. meningitidis* i *S. pneumoniae*, osim ako rizik od odgode liječenja nadmašuje rizik od razvoja infekcije tim bakterijama.

Zašto je lijek Fabhalta odobren u EU-u?

Lijek Fabhalta pokazao se učinkovitim u povećanju razina hemoglobina i smanjenju potrebe za transfuzijama krvi u bolesnika s PNH-om. Osim toga, pokazalo se da smanjuje nakupljanje proteina u mokraći bolesnika s C3G-om, što upućuje na smanjenje oštećenja bubrega. Najčešće nuspojave smatraju se neugodnima, ali se ne očekuje da će predstavljati rizik za bolesnike. Europska agencija za lijekove stoga je zaključila da koristi od lijeka Fabhalta nadmašuju s njim povezane rizike te da može biti odobren za primjenu u EU-u.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Fabhalta?

Tvrtka koja stavlja lijek Fabhalta u promet dostavit će liječnicima i bolesnicima materijale za obuku o riziku od infekcija uzrokovanim inkapsuliranim bakterijama te o potrebi da bolesnici prime odgovarajuće cjepivo. U slučaju bolesnika s PNH-om materijali uključuju i informacije o riziku od ozbiljne hemolize pri prekidu terapije lijekom Fabhalta.

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Fabhalta nalaze se također u sažetku opisa svojstava lijeka i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Fabhalta kontinuirano se prate. Sumnje na nuspojave prijavljene za lijek Fabhalta pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se sve potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

Ostale informacije o lijeku Fabhalta

Za lijek Fabhalta izdano je odobrenje za stavljanje u promet koje je na snazi u EU-u od 17. svibnja 2024.

Više informacija o lijeku Fabhalta dostupno je na mrežnom mjestu Agencije:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/fabhalta

Pregled informacija posljednji je put ažuriran u 3. 2025.