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

Fabhalta *(iptakopán)*

A Fabhalta-ra vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer a Fabhalta és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Fabhalta a következő betegségek kezelésére alkalmazott gyógyszer:

- hemolitikus anémia paroxizmális nokturnális hemoglobinuriában (PNH) szenvedő felnőtteknél. A PNH egy olyan betegség, amelyben a vérsejtek túlzott lebomlása vérszegénységet (a hemoglobin, azaz a vörösvérsejtekben található, az oxigént a szervezetben szállító fehérje alacsony szintje), trombózist (vérrögképződés az erekben), páncitopéniát (a vérsejtek alacsony szintje) és sötét vizeletet (a hemoglobin nagy mennyiségben történő felszabadulása miatt) okoz.
- komplement 3 glomerulopátia (C3G) felnőtteknél, RAS-inhibitorral (a renin-angiotenzin rendszerre ható gyógyszer) kombinációban vagy önmagában olyan betegeknél, akik nem szedhetnek RAS-inhibitort. A C3G egy olyan betegség, amelynek során a vesék progresszív károsodása megakadályozza a vér megfelelő szűrését, ami toxinfelhalmozódáshoz, csökkent vizelettermeléshez és duzzanathoz vezet.

Mivel a PNH és a C3G „ritkának" minősül, ezért a Fabhalta-t „ritka betegség elleni gyógyszerré" (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről az EMA honlapján található (PNH: 2020. június 4.; C3G: 2018. december 4.).

A Fabhalta hatóanyaga az iptakopán.

Hogyan kell alkalmazni a Fabhalta-t?

A Fabhalta kapszula formájában kapható, amelyet szájon át, naponta kétszer kell bevenni.

Ha egy vagy több adag kimaradt, a gyógyszert a lehető leghamarabb be kell venni. PNH-ban szenvedő betegeknél, ha több adagot kihagynak, a hemolízis (a vörösvérsejtek rendellenes lebomlása) jeleit és tüneteit figyelemmel kell kísérni.

A gyógyszer csak receptre kapható.

A Fabhalta alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

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

Hogyan fejti ki hatását a Fabhalta?

A komplementrendszer az immunrendszer (a szervezet természetes védekezőrendszere) részét képező fehérjék csoportja. A PNH-ban és C3G-ben szenvedő betegeknél a komplementrendszer túlzottan aktív, és károsítja a betegek saját sejtjeit, különösen a vörösvérsejteket PNH esetén és a vesesejteket C3G esetén.

A Fabhalta hatóanyaga, az iptakopán gátolja a komplementrendszer „B faktor" nevű fehérjéjét. A „B faktor" gátlásával a Fabhalta megakadályozza, hogy a komplementerrendszer károsítsa a vörösvérsejteket PNH esetén és a vesesejteket C3G esetén, ezáltal segít enyhíteni e betegségek tüneteit.

Milyen előnyei voltak a Fabhalta alkalmazásának a vizsgálatok során?

PNH

Egy 97 PNH-ban szenvedő beteg részvételével végzett fő vizsgálatban a Fabhalta hatásosnak bizonyult a hemoglobinszint növelésében és a vérátömlesztés szükségességének csökkentésében.

A vizsgálatban részt vevő betegeket korábban legalább 6 hónapig ravulizumabdal vagy eculizumabbal (a PNH kezelésére szolgáló más gyógyszerekkel) kezelték, és még mindig vérszegénységben szenvedtek. A betegek vagy Fabhalta-t kaptak, vagy folytatták a ravulizumabbal vagy ekulizumabbal végzett kezelésüket. 24 hetes kezelést követően a vérátömlesztés nélkül legalább 2 g/dl-es hemoglobinszint-emelkedést elérő betegek aránya körülbelül 82% volt a Fabhalta-val kezelt betegeknél, szemben a továbbra is ravulizumabbal vagy ekulizumabbal kezelt betegeknél tapasztalt 2%-kal. A Fabhalta-t szedő betegek mintegy 69%-a legalább 12 g/dl hemoglobinszintet ért el vérátömlesztés nélkül, szemben a ravulizumabot vagy eculizumabot szedő betegek mintegy 2%-ával.

Egy további vizsgálatból származó adatok alátámasztották a Fabhalta alkalmazását olyan, PNH-ban szenvedő betegeknél, akiket korábban nem kezeltek.

C3G

Egy, 74, C3G-ben szenvedő beteg részvételével végzett fő vizsgálatban a Fabhalta hatásosabbnak bizonyult a placebónál a vesekárosodás csökkentésében. A vizsgálatban résztvevő betegeknél a C3G-t már kezelték más gyógyszerekkel, például RAS-gátlókkal és immunszuppresszánsokkal (kortikoszteroidokkal, mikofenolát-mofetillel vagy mikofenolát-nátriummal).

A hatásosság fő mutatója a betegek vizeletében mért fehérjeszint volt. Mivel az egészséges vesék szinte minden fehérjét kiszűrnek a vérből, a fehérjék jelenléte a vizeletben vesekárosodást jelez.

6 hónapos kezelést követően a Fabhalta-val kezelt betegeknél körülbelül 35%-kal csökkent a vizeletben mért fehérjeszint a placebóval kezelt betegekhez képest. Ez a hatás 12 hónapos kezelést követően is fennmaradt.

Milyen kockázatokkal jár a Fabhalta alkalmazása?

A Fabhalta alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

A PNH-ban szenvedő betegeknél a Fabhalta leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a felső légúti fertőzés, a fejfájás és a hasmenés. A Fabhalta leggyakoribb súlyos mellékhatása a húgyúti fertőzés, amely 10 beteg közül legfeljebb 1-nél jelentkezhet.

A C3G-ben szenvedő betegeknél a Fabhalta leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a felső légúti fertőzés. A leggyakoribb súlyos mellékhatás a pneumococcus baktérium okozta fertőzés, amely 10 beteg közül legfeljebb 1-nél jelentkezhet.

A Fabhalta hatásmechanizmusa miatt növelheti a fertőzések kockázatát. A Fabhalta nem alkalmazható olyan betegeknél, akiknél ún. enkapszulált baktérium, például *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* vagy B. típusú *Haemophilus influenzae* okozta fertőzés áll fenn. A készítmény olyan betegeknél sem alkalmazható, akik nincsenek beoltva *N. meningitidis* és *S. pneumoniae* ellen, kivéve, ha a kezelés késleltetésének kockázata meghaladja az ilyen baktériumok okozta fertőzés kialakulásának kockázatát.

Miért engedélyezték a Fabhalta forgalomba hozatalát az EU-ban?

A PNH-ban szenvedő betegeknél a Fabhalta hatásosnak bizonyult a hemoglobinszint növelésében és a vérátömlesztés szükségességének csökkentésében. Kimutatták továbbá, hogy csökkenti a fehérjefelhalmozódást a C3G-ben szenvedő betegek vizeletében, ami a vesekárosodás csökkenésére utal. A leggyakoribb mellékhatások kellemetlenek, de várhatóan nem jelentenek kockázatot a betegek számára. Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Fabhalta alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Fabhalta biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Fabhalta-t forgalmazó vállalat oktatási anyagokat fog biztosítani az orvosok és a betegek számára az enkapszulált baktériumok általi fertőzés kockázatáról, valamint arról, hogy a betegeknek megfelelő védőoltást kell kapniuk. A PNH-ban szenvedő betegek esetében az anyagok a Fabhalta-kezelés leállításakor a súlyos hemolízis kockázatára vonatkozó információkat is tartalmaznak.

A Fabhalta biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Fabhalta alkalmazásával kapcsolatos információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. A Fabhalta alkalmazásával összefüggésben jelentett feltételezett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

A Fabhalta-val kapcsolatos egyéb információ

2024. május 17-én a Fabhalta az Európai Unió egész területére érvényes forgalombahozatali engedélyt kapott.

A Fabhalta-val kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/fabhalta

Az áttekintés utolsó aktualizálása: 03-2025.