



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Fabhalta (*iptakopanas*)

Fabhalta apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

Kas yra Fabhalta ir kam jis vartojamas?

Fabhalta – tai vaistas, kuriuo gydomi:

- paroksizmine naktine hemoglobinurija (PNH) sergantys suaugusieji, kuriems pasireiškia hemolizinė anemija. PNH yra liga, kuria sergant stiprus kraujo ląstelių irimas sukelia anemiją (sumažėjusį hemoglobino, kuris yra deguonį pernešančio raudonųjų kraujo ląstelių baltymas, kiekį), trombozę (kraujo krešulius kraujagyslėse), pancitopeniją (sumažėjusį kraujo ląstelių kiekį) ir šlapimo patamsėjimą (dėl didelio į šlapimą patenkančio hemoglobino kiekio).
- komplemento 3 glomerulopatija (C3G) suaugusiesiems, vaistą skiriant kartu su RAS inhibitoriumi (renino-angiotenzino sistemą veikiančiu vaistu), arba vieną – pacientams, kurie negali vartoti RAS inhibitoriaus. C3G – tai liga, kuria sergant progresuojantys inkstų pažeidimai neleidžia jiems tinkamai filtruoti kraujo, dėl to pasireiškia toksino kaupimasis, sumažėja šlapimo gamyba ir atsiranda patinimas.

PNH ir C3G laikomos retomis ligomis, todėl Fabhalta buvo priskirtas „retųjų vaistų“ (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. Daugiau informacijos apie priskyrimą retųjų vaistų kategorijai galima rasti [EMA interneto svetainėje](#) (PNH: 2020 m. birželio 4 d., C3G – 2018 m. gruodžio 4 d.).

Fabhalta sudėtyje yra veikliosios medžiagos iptakopano.

Kaip vartoti Fabhalta?

Gaminamos Fabhalta kapsulės, kurias reikia gerti du kartus per parą.

Praleidus vieną ar daugiau dozių, vaisto reikia išgerti kuo greičiau. Jei PNH sergantis pacientas praleidžia kelias dozes, reikėtų stebėti, ar pacientams nepasireiškia hemolizės (nenormalaus raudonųjų kraujo ląstelių skilimo) požymiai ir simptomai.

Vaisto galima įsigyti tik pateikus receptą.

Daugiau informacijos apie Fabhalta vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.



Kaip veikia Fabhalta?

Komplemento sistema – tai baltymų grupė, kuri yra imuninės (organizmo natūralios apsaugos) sistemos dalis. PNH ir C3G sergančių pacientų komplemento sistema yra pernelyg aktyvi ir pažeidžia paties paciento ląsteles, ypač raudonąsias kraujo ląsteles sergant PNH ir inkstų ląsteles C3G atveju.

Veiklioji Fabhalta medžiaga iptakopanas slopina komplemento sistemos baltymą, vadinamą faktoriumi B. Slopindamas faktorių B, Fabhalta neleidžia komplemento sistemai pažeisti PNH raudonųjų kraujo ląstelių PNH atveju ir inkstų ląstelių C3G atveju, taip padėdamas palengvinti šių ligų simptomus.

Kokia Fabhalta nauda nustatyta tyrimų metu?

PNH

Viename pagrindiniame tyrime su 97 PNH sergančiais pacientais nustatyta, kad Fabhalta veiksmingai padidina hemoglobino kiekį ir sumažina kraujo perpylimo poreikį.

Šiame tyrime dalyvavo pacientai, kurie anksčiau bent 6 mėnesius buvo gydomi ravulizumabu arba ekulizumabu (kitais vaistais nuo PNH), bet vis tiek sirgo anemija. Pacientai vartojo Fabhalta arba tęsė gydymą ravulizumabu arba ekulizumabu. Po 24 gydymo savaičių hemoglobino kiekis be kraujo perpylimo padidėjo bent 2 g/dl maždaug 82 proc. Fabhalta gydomų pacientų ir 2 proc. pacientų, kurie toliau vartojo ravulizumabą arba ekulizumabą. Maždaug 69 proc. Fabhalta gydomų pacientų hemoglobino kiekis kraujyje be kraujo perpylimo buvo bent 12 g/dl, palyginti su maždaug 2 proc. ravulizumabą ar ekulizumabą vartojusių pacientų.

Papildomo tyrimo duomenys patvirtino Fabhalta veiksmingumą PNH sergantiems pacientams, kurie anksčiau nebuvo gydyti.

C3G

Viename pagrindiniame tyrime su 74 C3G sergančiais pacientais nustatyta, kad Fabhalta yra veiksmingesnis už placebą mažinant inkstų pažeidimus. Tyrime dalyvavę pacientai nuo C3G jau buvo gydomi kitais vaistais, tokiais kaip RAS inhibitoriai ir imunosupresantai (kortikosteroidai, mikofenolato mofetilis arba mikofenolato natrio druska).

Pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo baltymų kiekis pacientų šlapime. Kadangi sveiki inkstai beveik visus baltymus išlaiko kraujyje, baltymų buvimas šlapime rodo inkstų pažeidimą.

Po 6 gydymo mėnesių Fabhalta vartojusių pacientų baltymų kiekis šlapime sumažėjo maždaug 35 proc., palyginti su vartojusiųjų placebą. Šis poveikis išliko po 12 gydymo mėnesių.

Kokia rizika susijusi su Fabhalta vartojimu?

Išsamų visų Fabhalta šalutinio poveikio reiškinių ir apribojimų sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

PNH sergantiems pacientams dažniausias Fabhalta šalutis poveikis (galintis pasireikšti daugiau kaip 1 žmogui iš 10) yra viršutinių kvėpavimo takų (nosies ir gerklės) infekcija, galvos skausmas ir viduriavimas. Dažniausias sunkus Fabhalta šalutinis poveikis yra šlapimo takų (organų, kuriuose surenkamas ir kuriais iš organizmo pašalinamas šlapimas) infekcija, kuri gali pasireikšti ne daugiau kaip 1 pacientui iš 10.

C3G sergantiems pacientams dažniausias Fabhalta šalutinis poveikis (galintis pasireikšti daugiau kaip 1 žmogui iš 10) yra viršutinių kvėpavimo takų infekcija. Dažniausias sunkus šalutinis poveikis yra pneumokokinių bakterijų sukeliama infekcija, galinti pasireikšti ne daugiau kaip 1 žmogui iš 10.

Dėl Fabhalta veikimo mechanizmo gali padidėti infekcijų rizika. Fabhalta negalima vartoti pacientams, sergantiems vadinamųjų inkapsuliuotų bakterijų, įskaitant *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* ir B tipo *Haemophilus influenzae*, sukelta infekcija. Šio vaisto taip pat negalima vartoti pacientams, kurie nepaskiepyti nuo *N. meningitidis* ir *S. pneumoniae*, nebent gydymo atidėjimo rizika yra didesnė už šių bakterijų sukeltą infekcijos riziką.

Kodėl Fabhalta buvo registruotas ES?

Nustatyta, kad PNH sergantiems pacientams Fabhalta veiksmingai padidina hemoglobino kiekį ir sumažina kraujo perpylimo poreikį. Taip pat nustatyta, kad jis mažina proteinų kaupimąsi C3G sergančių pacientų šlapime, o tai leidžia manyti, kad susilpnėja inkstų pažeidimas. Dažniausiai pasireiškiantis šalutinis poveikis laikomas nepatogiu, tačiau nemanoma, kad jis kelia pavojų pacientams. Todėl Europos vaistų agentūra nusprendė, kad Fabhalta nauda yra didesnė už jo keliamą riziką ir jis gali būti registruotas vartoti ES.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Fabhalta vartojimą?

Fabhalta prekiaujanti bendrovė gydytojams ir pacientams pateiks šviečiamąją medžiagą apie inkapsuliuotų bakterijų keliamą infekcijos riziką ir apie būtinybę pacientams tinkamai skiepytis. PNH sergantiems pacientams skirtoje medžiagoje taip pat pateikiama informacija apie sunkios hemolizės riziką nutraukiant gydymą Fabhalta.

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį taip pat įtrauktos saugaus ir veiksmingo Fabhalta vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Fabhalta vartojimo duomenys yra nuolatos stebimi. Įtariamas Fabhalta šalutinis poveikis yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

Kita informacija apie Fabhalta

Fabhalta buvo registruotas visoje ES 2024 m. gegužės 17 d.

Daugiau informacijos apie Fabhalta rasite Agentūros tinklalapyje adresu:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/fabhalta

Ši apžvalga paskutinį kartą atnaujinta 2025-03.