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

Fabhalta *(iptakopāns)*

Fabhalta pārskats un kāpēc tās ir reģistrētas ES

Kas ir *Fabhalta* un kāpēc tās lieto?

Fabhalta ir zāles, ko lieto, lai ārstētu:

- hemolītisko anēmiju pieaugušajiem ar paroksismālu nakts hemoglobinūriju (PNH). PNH ir slimība, kuras gadījumā asins šūnu pārmērīgas noārdīšanās rezultātā iestājas anēmija (zems hemoglobīna līmenis, kas ir sarkano asins šūnu olbaltumviela, kas apgādā organismu ar skābekli), tromboze (trombi asinsvados), pancitopēnija (zems asins šūnu līmenis) un tumšs urīns (liels hemoglobīna daudzums tiek izvadīts urīnā).
- komplementu 3 glomerulopātiju (C3G) pieaugušajiem, vai nu kombinācijā ar *RAS* inhibitoru (zālēm, kas iedarbojas uz renīna-angiotenzīna sistēmu), vai atsevišķi pacientiem, kuri nevar lietot *RAS* inhibitoru. C3G ir slimība, kuras gadījumā progresējoši nieru bojājumi neļauj tām pareizi filtrēt asinis, izraisot toksīna uzkrāšanos, samazinātu urīna izdalīšanos un pietūkumu.

PNH un C3G ir reti sastopamas, un *Fabhalta* tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss. Sīkāka informācija par retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodama *EMA* tīmekļa vietnē (PNH: 2020. gada 4. jūnijs; C3G: 2018. gada 4. decembris).

Fabhalta satur aktīvo vielu iptakopānu.

Kā lieto *Fabhalta*?

Fabhalta ir pieejamas iekšķīgi lietojamu kapsulu veidā divreiz dienā.

Ja viena vai vairākas devas nav ievadītas, zāles jālieto pēc iespējas drīz. Pacientiem ar PNH, ja izlaistas vairākas devas, jānovēro, vai pacientiem nerodas hemolīzes pazīmes un simptomi (patoloģiska sarkano asins šūnu noārdīšanās).

Šīs zāles var iegādāties tikai pret recepti.

Papildu informāciju par *Fabhalta* lietošanu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā vai jautāt ārstam vai farmaceitam.

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

Kā *Fabhalta* darbojas?

Komplementa sistēma ir olbaltumvielu kopums, kas ir daļa no imūnsistēmas (organisma dabiskā aizsargsistēma). Pacientiem ar PNH un C3G komplementa sistēma ir pārmērīgi aktīva, bojājot paša pacienta šūnas, jo īpaši sarkanās asins šūnas PNH gadījumā un nieru šūnas C3G gadījumā.

Fabhalta aktīvā viela iptakopāns bloķē komplementa sistēmas olbaltumvielu, ko dēvē par "B faktoru". Bloķējot B faktoru, *Fabhalta* neļauj komplementa sistēmai noārdīt sarkanās asins šūnas PNH gadījumā un nieru šūnas – C3G gadījumā, tādējādi palīdzot mazināt šo slimību simptomus.

Kādi *Fabhalta* ieguvumi atklāti pētījumos?

PNH:

Vienā pamatpētījumā, iesaistot 97 pacientus ar PNH, tika pierādīts, ka *Fabhalta* efektīvi paaugstina hemoglobīna līmeni un samazina vajadzību pēc asins pārliešanas.

Pētījumā iesaistītie pacienti iepriekš bija ārstēti ar ravulizumabu vai ekulizumabu (citas zāles PNH ārstēšanai) vismaz sešus mēnešus un viņiem joprojām bija anēmija. Pacienti lietoja *Fabhalta* vai turpināja ārstēšanos ar ravulizumabu vai ekulizumabu. Pēc 24 ārstēšanas nedēļām to pacientu procentuālā daļa, kuriem hemoglobīna līmenis palielinājās par vismaz 2 g/dL bez asins pārliešanas, bija aptuveni 82 % pacientiem, kuri lietoja *Fabhalta*, salīdzinot ar 2 % pacientu, kuri turpināja lietot ravulizumabu vai ekulizumabu. Aptuveni 69 % pacientu, kuri lietoja *Fabhalta*, hemoglobīna līmenis bez asins pārliešanas sasniedza vismaz 12 g/dL, salīdzinot ar aptuveni 2 % pacientu, kuri lietoja ravulizumabu vai ekulizumabu.

Papildu pētījuma dati atbalstīja *Fabhalta* lietošanu pacientiem ar PNH, kuri iepriekš nebija ārstēti.

C3G

Vienā pamatpētījumā, iesaistot 74 pacientus ar C3G, tika pierādīts, ka *Fabhalta* ir iedarbīgākas par placebo nieru bojājuma samazināšanā. Pētījumā iesaistītie pacienti jau tika ārstēti pret C3G ar citām zālēm, piemēram, RAS inhibitoriem un imūnsupresantiem (kortikosteroīdi, mikofenolātmofetils vai mikofenolnātrijs).

Galvenais efektivitātes rādītājs bija olbaltumvielu līmenis pacientu urīnā. Tā kā veselas nieres notur gandrīz visas olbaltumvielas asinīs, olbaltumvielu klātbūtne urīnā norāda uz nieru bojājumiem.

Pēc sešus mēnešus ilgas ārstēšanas pacientiem, kuri saņēma *Fabhalta*, olbaltumvielu līmenis urīnā samazinājās par aptuveni 35 %, salīdzinot ar pacientiem, kuri saņēma placebo. Pēc 12 ārstēšanas mēnešiem šī ietekme saglabājās.

Kāds risks pastāv, lietojot *Fabhalta*?

Pilnu visu ziņoto blakusparādību un ierobežojumu sarakstu, lietojot *Fabhalta*, skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Pacientiem ar PNH visbiežākās *Fabhalta* blakusparādības (kas var rasties vairāk nekā 1 no 10 cilvēkiem) ir augšējo elpceļu (deguna un rīkles) infekcija, galvassāpes un caureja. Visbiežākā nopietnā *Fabhalta* blakusparādība ir urīnceļu infekcija (infekcija ķermeņa daļās, kas savāc un izvada urīnu), kas var rasties līdz 1 no 10 pacientiem.

Pacientiem ar C3G visbiežākās *Fabhalta* blakusparādības (kas var rasties vairāk nekā 1 no 10 cilvēkiem) ir augšējo elpceļu infekcija. Visbiežākā nopietnā blakusparādība ir pneimokoku baktēriju infekcija, kas var rasties līdz 1 no 10 cilvēkiem.

Ņemot vērā *Fabhalta* iedarbību, tas var palielināt infekciju risku. *Fabhalta* nedrīkst lietot pacientiem, kuriem ir pastāvīga infekcija, ko izraisa tā sauktās iekapsulētās baktērijas, tostarp *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* un *Haemophilus influenzae* B tipa baktērijas. Tās nedrīkst lietot arī pacientiem, kuri pašlaik nav vakcinēti pret *N. meningitidis* un *S. pneumoniae*, ja vien ārstēšanas aizkavēšanās risks neatsver šo baktēriju infekcijas attīstības risku.

Kāpēc *Fabhalta* ir reģistrētas ES?

Tika pierādīts, ka *Fabhalta* efektīvi palielina hemoglobīna līmeni un samazina vajadzību pēc asins pārliešanas pacientiem ar PNH. Tika arī pierādīts, ka tas samazina olbaltumvielu uzkrāšanos urīnā pacientiem ar C3G, kas liecina par samazinātu nieru bojājumu. Visbiežākās blakusparādības tiek uzskatītas par traucējošām, bet nav paredzams, ka tās varētu radīt risku pacientiem. Tādēļ Eiropas Zāļu aģentūra nolēma, ka ieguvums, lietojot *Fabhalta*, pārsniedz šo zāļu radīto risku un zāles var reģistrēt lietošanai ES.

Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Fabhalta* lietošanu?

Uzņēmums, kas piedāvā tirgū *Fabhalta*, nodrošinās ārstiem un pacientiem izglītojošus materiālus par iekapsulētu baktēriju infekcijas risku un nepieciešamību pacientiem saņemt atbilstošu vakcināciju. Materiālos ir iekļauta arī informācija par smagas hemolīzes risku pacientiem ar PNH, pārtraucot ārstēšanu ar *Fabhalta*.

Zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti arī ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Fabhalta* lietošanu.

Tāpat kā par visām zālēm, dati par *Fabhalta* lietošanu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Ziņotās ar *Fabhalta* lietošanu saistītās iespējamās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai nepieciešamie pasākumi.

Cita informācija par *Fabhalta*

2024. gada 17. maijā *Fabhalta* saņēma reģistrācijas apliecību, kas derīga visā ES.

Sīkāka informācija par *Fabhalta* ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/fabhalta

Šis kopsavilkums pēdējo reizi atjaunināts 2025. gada martā.