



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Fabhalta (*iptakopan*)

Przegląd wiedzy na temat leku Fabhalta i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Czym jest lek Fabhalta i w jakim celu się go stosuje

Fabhalta jest lekiem stosowanym w leczeniu następujących chorób:

- niedokrwistość hemolityczna u osób dorosłych z napadową nocną hemoglobinurią (ang. *paroxysmal nocturnal haemoglobinuria*, PNH). PNH jest chorobą, w której nadmierny rozkład krwinek powoduje niedokrwistość (niski poziom hemoglobiny – białka w krwinkach czerwonych, które przenosi tlen w organizmie), zakrzepicę (zakrzepy krwi w naczyniach krwionośnych), pancytopenię (niski poziom krwinek) i ciemne zabarwienie moczu (z powodu dużych ilości hemoglobiny uwalnianej do moczu);
- glomerulopatia 3 układu dopełniacza (ang. *complement 3 glomerulopathy*, C3G) u osób dorosłych, w skojarzeniu z inhibitorem RAS (lekiem, który oddziałuje na układ renina-angiotensyna) lub w monoterapii u pacjentów, dla których inhibitor RAS jest przeciwwskazany. C3G jest chorobą, w której postępujące uszkodzenie nerek uniemożliwia im prawidłowe filtrowanie krwi, co prowadzi do gromadzenia się toksyn, zmniejszenia produkcji moczu i obrzęku.

Ze względu na to, że PNH i C3G są chorobami rzadko choroby występującymi, lek Fabhalta uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierocowego można znaleźć na [internetowej EMA](#) (PNH: 4 czerwca 2020 r.; C3G: 4 grudnia 2018 r.).

Substancją czynną zawartą w leku Fabhalta jest iptakopan.

Jak stosować lek Fabhalta

Lek Fabhalta jest dostępny w postaci kapsułek do przyjmowania doustnego dwa razy na dobę.

W przypadku pominięcia jednej lub kilku dawek leku należy przyjąć lek jak najszybciej. U pacjentów z PNH, w przypadku pominięcia wielu dawek, pacjentów należy monitorować pod kątem przedmiotowych i podmiotowych objawów hemolizy (nieprawidłowego rozpadu czerwonych krwinek).

Lek wydawany na receptę.

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Fabhalta znajduje się w Ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.



Jak działa Fabhalta

Układ dopełniacza jest zespołem białek stanowiących część układu odpornościowego (naturalnego systemu obronnego organizmu). U pacjentów z PNH i C3G układ dopełniacza wykazuje nadmierną aktywność, co prowadzi do uszkodzenia własnych komórek pacjenta, zwłaszcza krwinek czerwonych w PNH i komórek nerek w C3G.

Substancja czynna leku Fabhalta, iptakopan, blokuje białko układu dopełniacza, określane jako „czynnik B”. Blokując czynnik B, lek Fabhalta zapobiega uszkodzaniu krwinek czerwonych przez układ dopełniacza w PNH i komórkach nerek w C3G, pomagając w złagodzeniu objawów tych chorób.

Korzyści ze stosowania leku Fabhalta wykazane w badaniach

PNH

W jednym badaniu głównym z udziałem 97 pacjentów z PNH wykazano, że lek Fabhalta skutecznie zwiększa stężenie hemoglobiny i zmniejsza potrzebę transfuzji krwi.

Pacjenci biorący udział w badaniu byli wcześniej leczeni rawulizumabem lub ekulizumabem (inne leki stosowane w leczeniu PNH) przez co najmniej 6 miesięcy i nadal występowała u nich niedokrwistość. Pacjenci przyjmowali albo lek Fabhalta, albo kontynuowali leczenie rawulizumabem lub ekulizumabem. Po 24 tygodniach leczenia odsetek pacjentów, u których uzyskano zwiększenie stężenia hemoglobiny o co najmniej 2 g/dl bez transfuzji krwi, wyniósł około 82% w przypadku pacjentów przyjmujących lek Fabhalta, w porównaniu z 2% pacjentów kontynuujących leczenie rawulizumabem lub ekulizumabem. U około 69% pacjentów przyjmujących lek Fabhalta uzyskano stężenie hemoglobiny wynoszące co najmniej 12 g/dl bez transfuzji krwi, w porównaniu z około 2% pacjentów przyjmujących rawulizumab lub ekulizumab.

Dane z dodatkowego badania potwierdzają zasadność stosowania leku Fabhalta u pacjentów z PNH, którzy nie byli wcześniej leczeni.

C3G

W jednym badaniu głównym z udziałem 74 pacjentów z C3G wykazano, że lek Fabhalta jest skuteczniejszy niż placebo w ograniczaniu uszkodzenia nerek. Pacjenci z C3G uczestniczący w tym badaniu otrzymywali już inhibitory RAS i leki immunosupresyjne (kortykosteroidy, mykofenolan mofetylu lub mykofenolan sodu).

Głównym kryterium oceny skuteczności było stężenie białka w moczu pacjentów. Ponieważ zdrowe nerki zatrzymują niemal wszystkie białka we krwi, obecność białek w moczu świadczy o uszkodzeniu nerek.

Po 6 miesiącach leczenia u pacjentów, którym podawano lek Fabhalta, odnotowano zmniejszenie stężenia białka moczu o około 35% w porównaniu z pacjentami, którym podawano placebo. Działanie to utrzymywało się po 12 miesiącach leczenia.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Fabhalta

Pełny wykaz działań niepożądanych i ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Fabhalta znajduje się w Ulotce dla pacjenta.

U pacjentów z PNH najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Fabhalta (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów) to: zakażenie górnych dróg oddechowych (nosa i gardła), ból głowy i biegunka. Najczęstsze poważne działanie niepożądane związane ze stosowaniem leku

Fabhalta to zakażenia dróg moczowych (zakażenie struktur gromadzących i odprowadzających mocz), mogące wystąpić u 1 na 10 pacjentów.

U pacjentów z C3G najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Fabhalta (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów) to: zakażenie górnych dróg oddechowych. Najczęstszym poważnym działaniem niepożądanym jest zakażenie bakteriami pneumokokowymi, które może wystąpić u 1 na 10 pacjentów.

W oparciu o mechanizm działania lek Fabhalta może zwiększać ryzyko zakażeń. Leku Fabhalta nie wolno stosować u pacjentów z czynnym zakażeniem wywołanym przez tzw. bakterie otoczkowe, w tym bakterie *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* i *Haemophilus influenzae* typu B. Leku nie wolno również stosować u pacjentów, którzy nie są obecnie zaszczepieni przeciwko bakteriom *N. meningitidis* i *S. pneumoniae*, chyba że ryzyko opóźnienia leczenia przewyższa ryzyko wystąpienia zakażenia tymi bakteriami.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Fabhalta w UE

Wykazano, że lek Fabhalta skutecznie zwiększa stężenie hemoglobiny i zmniejsza zapotrzebowanie na transfuzje krwi u pacjentów z PNH. Wykazano również, że ogranicza on gromadzenie się białek w moczu pacjentów z C3G, co sugeruje mniejsze uszkodzenia nerek. Najczęstsze działania niepożądane uznaje się za niedogodne, ale należy się spodziewać, że nie będą stanowić zagrożenie dla pacjentów. Europejska Agencja Leków uznała zatem, że korzyści płynące ze stosowania leku Fabhalta przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Fabhalta

Firma, która wprowadza lek Fabhalta do obrotu, udostępni lekarzom i pacjentom materiały edukacyjne dotyczące ryzyka zakażenia bakteriami otoczkowymi oraz konieczności odpowiedniego szczepienia pacjentów. W przypadku pacjentów z PNH materiały zawierają również informacje na temat ryzyka wystąpienia ciężkiej hemolizy po zaprzestaniu stosowania leku Fabhalta.

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Fabhalta w Charakterystyce Produktu Leczniczego i w Ulotce dla pacjenta zawarto również zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Fabhalta są stale monitorowane. Podejrzewane działania niepożądane leku Fabhalta są starannie oceniane i podejmowane są wszelkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Fabhalta

Lek Fabhalta otrzymał pozwolenie na dopuszczenie do obrotu, ważne w całej UE od dnia 17 maja 2024 r.

Dalsze informacje dotyczące leku Fabhalta znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/fabhalta

Data ostatniej aktualizacji: 03.2025.