



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/81001/2025
EMA/H/C/005764 — REVISÃO

Fabhalta (*iptacopano*)

Um resumo sobre Fabhalta e por que está autorizado na UE

O que é Fabhalta e para que é utilizado?

Fabhalta é um medicamento utilizado no tratamento de:

- anemia hemolítica em adultos com hemoglobinúria noturna paroxismal (HPN). A HPN é uma doença em que a degradação excessiva das células sanguíneas resulta em anemia (níveis baixos de hemoglobina, proteínas nos glóbulos vermelhos que transportam oxigénio à volta do corpo), trombose (coágulos sanguíneos nos vasos sanguíneos), pancitopenia (níveis baixos de células sanguíneas) e urina escura (devido à libertação de grandes quantidades de hemoglobina na urina).
- glomerulopatia do complementom 3 (GC3) em adultos, quer em associação com um inibidor do RAS (um medicamento que atua no sistema renina-angiotensina), quer em monoterapia (medicamento único) em doentes que não podem tomar um inibidor do RAS. A GC3 é uma doença na qual as lesões progressivas nos rins impedem que filtrem corretamente o sangue, conduzindo à acumulação de toxinas, à redução da produção de urina e ao inchaço.

A HPN e a GC3 são raras, e Fabhalta foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras). Estão disponíveis mais informações sobre a designação de medicamento órfão no [sítio Web da EMA](#) (HPN: 4 de junho de 2020; GC3: 4 de dezembro de 2018).

Fabhalta contém a substância ativa iptacopano.

Como se utiliza Fabhalta?

Fabhalta está disponível na forma de cápsulas a tomar por via oral duas vezes por dia.

Em caso de esquecimento de uma ou mais doses, o medicamento deve ser tomado o mais rapidamente possível. Em doentes com HPN, em caso de esquecimento de múltiplas doses, os doentes devem ser monitorizados relativamente a sinais e sintomas de hemólise (degradação anormal de glóbulos vermelhos).

O medicamento só pode ser obtido mediante receita médica.

Para mais informações sobre a utilização de Fabhalta, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.



Como funciona Fabhalta?

O sistema de complemento é um grupo de proteínas que faz parte do sistema imunitário (as defesas naturais do organismo). Nos doentes com HPN e GC3, o sistema de complemento é hiperativo, danificando as células dos doentes, em particular os glóbulos vermelhos na HPN e as células renais na GC3.

A substância ativa de Fabhalta, o iptacopano, bloqueia uma proteína do sistema de complemento denominada «fator B». Ao bloquear o fator B, Fabhalta impede o sistema de complemento de danificar os glóbulos vermelhos na HPN e as células renais na GC3, ajudando assim a aliviar os sintomas destas doenças.

Quais os benefícios demonstrados por Fabhalta durante os estudos?

HPN

Fabhalta demonstrou ser eficaz no aumento dos níveis de hemoglobina e na redução da necessidade de transfusões sanguíneas num estudo principal que incluiu 97 doentes com HPN.

Os doentes no estudo tinham sido previamente tratados com ravulizumab ou eculizumab (outros medicamentos para a HPN) durante, pelo menos, 6 meses e ainda tinham anemia. Os doentes tomaram Fabhalta ou prosseguiram o tratamento com ravulizumab ou eculizumab. Após 24 semanas de tratamento, a percentagem de doentes que atingiram um aumento dos níveis de hemoglobina de, pelo menos, 2 g/dl sem transfusões de sangue foi de cerca de 82 % nos doentes que receberam Fabhalta, em comparação com 2 % dos doentes que continuaram a tomar ravulizumab ou eculizumab. Cerca de 69 % dos doentes que tomaram Fabhalta atingiram níveis de hemoglobina de pelo menos 12 g/dL sem transfusões de sangue, em comparação com cerca de 2 % dos doentes que tomaram ravulizumab ou eculizumab.

Os dados de um estudo adicional apoiaram a utilização de Fabhalta em doentes com HPN que não tinham sido previamente tratados.

GC3

Fabhalta demonstrou ser mais eficaz do que o placebo na redução dos danos renais num estudo principal que incluiu 74 doentes com GC3. Os doentes do estudo já tinham sido tratados para GC3 com outros medicamentos, tais como inibidores do RAS e imunossuppressores (corticosteroides, micofenolato de mofetil ou micofenolato de sódio).

O principal parâmetro de eficácia foi os níveis de proteínas na urina dos doentes. Como os rins saudáveis mantêm praticamente todas as proteínas no sangue, a presença de proteínas na urina indica danos nos rins.

Após 6 meses de tratamento, os doentes que receberam Fabhalta apresentaram uma redução de aproximadamente 35 % nos seus níveis de proteína na urina, em comparação com os doentes que receberam o placebo. Este efeito manteve-se após 12 meses de tratamento.

Quais são os riscos associados a Fabhalta?

Para a lista completa de efeitos secundários e de restrições de utilização de Fabhalta, consulte o Folheto Informativo.

Nos doentes com HPN, os efeitos secundários mais frequentes associados a Fabhalta (que podem afetar mais de 1 em cada 10 pessoas) incluem infeção do trato respiratório superior (nariz e garganta), dores de cabeça e diarreia. O efeito secundário grave mais frequente associado a Fabhalta

é a infeção do trato urinário (infeção das partes do corpo que recolhem e eliminam a urina), que pode afetar 1 em cada 10 doentes.

Nos doentes com GC3, os efeitos secundários mais frequentes associados a Fabhalta (que podem afetar mais de 1 em cada 10 pessoas) incluem infeção do trato respiratório superior. O efeito secundário grave mais frequente é a infeção por bactérias pneumocócicas, que pode afetar até 1 em cada 10 pessoas.

Devido à forma como atua, Fabhalta pode aumentar o risco de infeções. Fabhalta é contraindicado em doentes com uma infeção ativa causada pelas chamadas bactérias encapsuladas, incluindo *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* e *Haemophilus influenzae* tipo B. É igualmente contraindicado em doentes que não estejam atualmente vacinados contra *N. meningitidis* e *S. pneumoniae*, a menos que o risco de adiar o tratamento exceda o risco de desenvolvimento de uma infeção por estas bactérias.

Por que está Fabhalta autorizado na UE?

Fabhalta demonstrou ser eficaz no aumento dos níveis de hemoglobina e na redução da necessidade de transfusões sanguíneas em doentes com HPN. Demonstrou-se também que reduz a acumulação de proteínas na urina de doentes com GC3, o que sugere uma redução das lesões renais. Os efeitos secundários mais frequentes são considerados inconvenientes, mas prevê-se que não representem nenhum risco para os doentes. Por conseguinte, a Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Fabhalta são superiores aos seus riscos e o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Fabhalta?

A empresa que comercializa Fabhalta fornecerá aos médicos e doentes materiais informativos sobre o risco de infeção por bactérias encapsuladas e a necessidade de os doentes receberem uma vacinação adequada. Para os doentes com HPN, os materiais também incluem informações sobre o risco de hemólise grave ao interromper o tratamento com Fabhalta.

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram igualmente incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Fabhalta.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Fabhalta são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Fabhalta são cuidadosamente avaliados e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger os doentes.

Outras informações sobre Fabhalta

A 17 de maio de 2024, Fabhalta recebeu uma Autorização de Introdução no Mercado, válida para toda a UE.

Estão disponíveis mais informações sobre o medicamento no sítio Web da Agência:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/fabhalta

Este resumo foi atualizado pela última vez em 03-2025.