



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Fabhalta (*iptakopan*)

Pregled zdravila Fabhalta in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Fabhalta in za kaj se uporablja?

Fabhalta je zdravilo, ki se uporablja za zdravljenje:

- hemolitične anemije pri odraslih s paroksizmalno nočno hemoglobinurijo (PNH). Paroksizmalna nočna hemoglobinurija je bolezen, pri kateri čezmerna razgradnja krvnih celic povzroči anemijo (nizke ravni hemoglobina, beljakovine v rdečih krvnih celicah, ki prenaša kisik po telesu), trombozo (krvne strdke v žilah), pancitopenijo (nizke ravni krvnih celic) in temen urin (zaradi velikih količin hemoglobina, ki se sprošča v urin);
- C3 glomerulopatije (C3G) pri odraslih, bodisi v kombinaciji z zaviralcem RAS (zdrvilom, ki deluje na renin-angiotenzinski sistem) bodisi kot samostojno zdravilo pri bolnikih, ki tega zaviralca ne morejo jemati. C3 glomerulopatija je bolezen, pri kateri napredujoča poškodba ledvic preprečuje pravilno filtriranje krvi, zaradi česar pride do kopičenja toksinov, zmanjšane tvorbe urina in otekanja.

Paroksizmalna nočna hemoglobinurija in C3 glomerulopatija sta redki bolezni, zato je bilo zdravilo Fabhalta določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni). Nadaljnje informacije o določitvah zdravila sirote so na voljo na [spletni strani agencije EMA](#) (paroksizmalna nočna hemoglobinurija: 4. junij 2020; C3 glomerulopatija: 4. december 2018).

Zdravilo Fabhalta vsebuje učinkovino iptakopan.

Kako se zdravilo Fabhalta uporablja?

Zdravilo Fabhalta je na voljo v obliki kapsul, ki se jemljejo peroralno dvakrat na dan.

Če bolnik izpusti enega ali več odmerkov, mora zdravilo vzeti v najkrajšem možnem času. Če bolniki s paroksizmalno nočno hemoglobinurijo izpustijo več odmerkov, jih je treba spremljati glede znakov in simptomov hemolize (nenormalne razgradnje rdečih krvnih celic).

Predpisovanje in izdaja zdravila je le na recept.

Za več informacij glede uporabe zdravila Fabhalta glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.



Kako zdravilo Fabhalta deluje?

Sistem komplementa je skupina beljakovin, ki so del imunskega sistema (naravnega obrambnega mehanizma telesa). Pri bolnikih s paroksizmalno nočno hemoglobinurijo in C3 glomerulopatijo je sistem komplementa preveč aktiven, kar poškoduje bolnikove lastne celice, zlasti rdeče krvne celice pri paroksizmalni nočni hemoglobinuriji in ledvične celice pri C3 glomerulopatiji.

Učinkovina v zdravilu Fabhalta, iptakopan, zavira beljakovino sistema komplementa, imenovano „faktor B“. Zdravilo Fabhalta z zaviranjem faktorja B preprečuje, da bi sistem komplementa poškodoval rdeče krvne celice pri paroksizmalni nočni hemoglobinuriji in ledvične celice pri C3 glomerulopatiji, s čimer pomaga ublažiti simptome teh bolezni.

Kakšne koristi zdravila Fabhalta so se pokazale v študijah?

Paroksizmalna nočna hemoglobinurija (PNH)

Zdravilo Fabhalta se je izkazalo za učinkovito pri zviševanju ravni hemoglobina in zmanjševanju potrebe po transfuziji krvi v eni glavni študiji, v katero je bilo vključenih 97 bolnikov s paroksizmalno nočno hemoglobinurijo.

Bolniki v študiji so se z ravulizumabom ali ekulizumabom (drugima zdraviloma za zdravljenje paroksizmalne nočne hemoglobinurije) predhodno zdravili vsaj šest mesecev in so še vedno imeli anemijo. Bolniki so jemali zdravilo Fabhalta ali nadaljevali zdravljenje z ravulizumabom ali ekulizumabom. Po 24 tednih zdravljenja je bil delež bolnikov, ki so jemali zdravilo Fabhalta in pri katerih se je raven hemoglobina zvišala za vsaj 2 g/dl brez transfuzij krvi, približno 82 % v primerjavi z 2 % bolnikov, ki so še naprej prejeli ravulizumab ali ekulizumab. Približno 69 % bolnikov, ki so jemali zdravilo Fabhalta, je doseglo ravni hemoglobina vsaj 12 g/dl brez transfuzij krvi v primerjavi s približno 2 % bolnikov, ki so jemali ravulizumab ali ekulizumab.

Podatki iz dodatne študije podpirajo uporabo zdravila Fabhalta pri bolnikih s paroksizmalno nočno hemoglobinurijo, ki predhodno še niso bili zdravljeni.

C3 glomerulopatija

Zdravilo Fabhalta se je v eni glavni študiji, v katero je bilo vključenih 74 bolnikov s C3 glomerulopatijo, izkazalo za učinkovitejše od placeba pri zmanjševanju poškodb ledvic. Bolniki v študiji so se zaradi C3 glomerulopatije že zdravili z drugimi zdravili, kot so zaviralci RAS in imunosupresivna zdravila (kortikosteroidi, mofetilmikofenolat ali natrijev mikofenolat).

Glavno merilo učinkovitosti je bila raven beljakovin v urinu bolnikov. Ker zdrave ledvice zadržujejo skoraj vse beljakovine v krvi, prisotnost beljakovin v urinu kaže na poškodbe ledvic.

Po šestih mesecih zdravljenja so se pri bolnikih, ki so prejeli zdravilo Fabhalta, ravni beljakovin v urinu znižale za približno 35 % v primerjavi z bolniki, ki so prejeli placebo. Ta učinek se je ohranil tudi po 12 mesecih zdravljenja.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Fabhalta?

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Fabhalta glejte navodilo za uporabo.

Pri bolnikih s paroksizmalno nočno hemoglobinurijo so najpogostejši neželeni učinki zdravila Fabhalta (ki se lahko pojavijo pri več kot 1 od 10 bolnikov) okužba zgornjih dihal (nosu in grla), glavobol in driska. Najpogostejši resni neželeni učinek zdravila Fabhalta je okužba sečil (okužba delov telesa, ki zbira in izločajo urin), ki se lahko pojavi pri največ 1 od 10 bolnikov.

Pri bolnikih s C3 glomerulopatijo so najpogostejši neželeni učinki zdravila Fabhalta (ki se lahko pojavijo pri več kot 1 od 10 bolnikov) okužba zgornjih dihal. Najpogostejši resni neželeni učinek je okužba s pnevmokoknimi bakterijami, ki se lahko pojavi pri največ 1 od 10 bolnikov.

Na podlagi načina delovanja zdravila Fabhalta lahko ta poveča tveganje za okužbe. Zdravila Fabhalta ne smejo uporabljati bolniki, ki imajo okužbo, ki jo povzročajo t. i. inkapsulirane bakterije, vključno z bakterijami *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* in *Haemophilus influenzae* tipa B. Prav tako ga ne smejo uporabljati bolniki, ki trenutno niso cepljeni proti bakterijama *N. meningitidis* in *S. pneumoniae*, razen če je tveganje za odložitev zdravljenja večje od tveganja za razvoj okužbe s tema bakterijama.

Zakaj je bilo zdravilo Fabhalta odobreno v EU?

Zdravilo Fabhalta se je izkazalo za učinkovito pri zviševanju ravni hemoglobina in zmanjševanju potrebe po transfuziji krvi pri bolnikih s paroksizmalno nočno hemoglobinurijo. Izkazalo se je tudi, da zmanjšuje kopičenje beljakovin v urinu bolnikov s C3 glomerulopatijo, kar kaže na manjšo okvaro ledvic. Najpogostejši neželeni učinki veljajo za neprijetne, vendar se ne pričakuje, da bi pomenili tveganje za bolnike. Evropska agencija za zdravila je zato zaključila, da so koristi zdravila Fabhalta večje od z njim povezanih tveganj in da se lahko odobri za uporabo v EU.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Fabhalta?

Podjetje, ki trži zdravilo Fabhalta, bo zdravnikom in bolnikom priskrbelo izobraževalno gradivo o tveganjih za okužbo z inkapsuliranimi bakterijami in nujnosti o ustreznem cepljenju bolnikov. Pri bolnikih s paroksizmalno nočno hemoglobinurijo gradivo vključuje tudi informacije o tveganju za hudo hemolizo pri prenehanju zdravljenja z zdravilom Fabhalta.

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Fabhalta upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni tudi v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Fabhalta stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Fabhalta, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Fabhalta

Za zdravilo Fabhalta je bilo 17. maja 2024 izdano dovoljenje za promet, veljavno po vsej EU.

Nadaljnje informacije za zdravilo Fabhalta so na voljo na spletni strani agencije:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/fabhalta

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 03-2025.