

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

Fabhalta (*iptakopan*)

Sammanfattning av Fabhalta och varför det är godkänt inom EU

Vad är Fabhalta och vad används det för?

Fabhalta är ett läkemedel som används för att behandla följande:

- Hemolytisk anemi hos vuxna med paroxysmal nokturn hemoglobinuri (PNH). PNH är en sjukdom där en alltför stor nedbrytning av blodkroppar leder till anemi (låga nivåer av hemoglobin, det protein i de röda blodkropparna som transporterar runt syre i kroppen), trombos (blodproppar i blodkärlen), pancytopeni (låga nivåer av blodkroppar) och mörk urin (på grund av att stora mängder hemoglobin förs över i urinen).
- Membranoproliferativ glomerulonefrit, typ III (C3G) hos vuxna, antingen i kombination med en RAS-hämmare (ett läkemedel som verkar på renin-angiotensinsystemet) eller ensamt hos patienter som inte kan ta RAS-hämmare. C3G är en sjukdom där progressiva skador på njurarna hindrar dem från att filtrera blodet korrekt, vilket leder till toxinansamling, minskad urinproduktion och svullnad.

PNH och C3G är sällsynt och Fabhalta klassificerades som sär läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar). Mer information om klassificeringen som sär läkemedel finns på [EMA:s webbplats](#) (PNH: 4 juni 2020, C3G: 4 december 2018).

Fabhalta innehåller den aktiva substansen iptakopan.

Hur används Fabhalta?

Fabhalta finns som kapslar som tas genom munnen två gånger om dagen.

Om patienten missar att ta en eller flera doser ska läkemedlet tas så snart som möjligt. Hos patienter med PNH ska patienterna, om flera doser missas, övervakas med avseende på tecken och symtom på hemolys (onormal nedbrytning av röda blodkroppar).

Läkemedlet är receptbelagt.

För mer information om hur du använder Fabhalta, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

Hur verkar Fabhalta?

Komplementsystemet är en uppsättning proteiner som ingår i immunsystemet (kroppens naturliga försvar). Hos patienter med PNH och C3G är komplementsystemet överaktivt och skadar patienternas egna celler, särskilt de röda blodkropparna vid PNH och njurcellerna vid C3G.

Den aktiva substansen i Fabhalta, iptakopan, blockerar ett protein i komplementsystemet som kallas "faktor B". Genom att blockera faktor B hindrar Fabhalta komplementsystemet från att skada röda blodkroppar vid PNH och njurceller vid C3G, vilket bidrar till att lindra symtomen på dessa sjukdomar.

Vilka fördelar med Fabhalta har visats i studierna?

PNH

I en huvudstudie på 97 patienter med PNH visades Fabhalta vara effektivt för att öka hemoglobinnivåerna och minska behovet av blodtransfusioner.

Patienterna i studien hade tidigare behandlats med ravulizumab eller ekulizumab (andra läkemedel mot PNH) under minst sex månader och hade fortfarande anemi. Patienterna tog antingen Fabhalta eller fortsatte sin behandling med ravulizumab eller ekulizumab. Efter 24 veckors behandling var andelen patienter som uppnådde en ökning av hemoglobinnivåerna på minst 2 g/dl utan blodtransfusioner cirka 82 procent för patienter som fick Fabhalta, jämfört med 2 procent av de patienter som fortsatte med ravulizumab eller ekulizumab. Omkring 69 procent av patienterna som tog Fabhalta uppnådde hemoglobinnivåer på minst 12 g/dl utan blodtransfusioner, jämfört med omkring 2 procent av patienterna som tog ravulizumab eller ekulizumab.

Data från en ytterligare studie gav stöd för användning av Fabhalta hos patienter med PNH som inte hade behandlats tidigare.

C3G

Fabhalta visade sig vara effektivare än placebo när det gäller att minska njurskador i en huvudstudie på 74 patienter med C3G. Patienterna i studien hade redan behandlats för C3G med andra läkemedel såsom RAS-hämmare och immunsuppressiva läkemedel (kortikosteroider, mykofenolatmofetil eller mykofenolatnatrium).

Huvudeffektmåttet var proteinnivåerna i patienternas urin. Eftersom friska njurar håller nästan alla proteiner kvar i blodet tyder förekomsten av proteiner i urinen på njurskada.

Efter sex månaders behandling minskade urinproteinnivåerna med cirka 35 procent hos de patienter som fick Fabhalta, jämfört med hos dem som fick placebo. Denna effekt kvarstod efter 12 månaders behandling.

Vilka är riskerna med Fabhalta?

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Fabhalta finns i bipacksedeln.

Hos patienter med PNH är de vanligaste biverkningarna som orsakas av Fabhalta (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare) bland annat övre luftvägsinfektion (infektion i näsa och hals), huvudvärk och diarré. Den vanligaste allvarliga biverkningen som orsakas av Fabhalta är urinvägsinfektion (infektion i de delar av kroppen som samlar upp och utsöndrar urin), som kan förekomma hos upp till 1 av 10 användare.

Hos patienter med C3G är de vanligaste biverkningarna som orsakas av Fabhalta (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare) bland annat övre luftvägsinfektion. Den vanligaste allvarliga biverkningen är infektion med pneumokockbakterier, som kan förekomma hos upp till 1 av 10 användare.

Fabhaltas verkningsätt kan medföra ökad risk för infektioner. Fabhalta får inte ges till patienter som har en pågående infektion orsakad av så kallade inkapslade bakterier, däribland *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* och *Haemophilus influenzae* typ B. Fabhalta får inte heller ges till patienter som inte är vaccinerade mot *N. meningitidis* och *S. pneumoniae*, såvida inte risken med att behandlingen försenas uppväger risken för att utveckla en infektion från dessa bakterier.

Varför är Fabhalta godkänt i EU?

Fabhalta visades vara effektivt när det gäller att öka hemoglobinnivåerna och minska behovet av blodtransfusioner hos patienter med PNH. Det visade sig också minska ackumuleringen av proteiner i urinen hos patienter med C3G, vilket tyder på minskad njurskada. De vanligaste biverkningarna kan vara besvärliga men förväntas inte utgöra en risk för patienterna. Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann därför att fördelarna med Fabhalta är större än riskerna och att Fabhalta kan godkännas för försäljning i EU.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Fabhalta?

Företaget som marknadsför Fabhalta kommer att förse läkare och patienter med utbildningsmaterial om risken för infektion med inkapslade bakterier och om vikten av att patienterna får lämplig vaccination. För patienter med PNH innehåller materialet även information om risken för allvarlig hemolys när behandlingen med Fabhalta avbryts.

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Fabhalta har också tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Fabhalta kontinuerligt. Misstänkta biverkningar som har rapporterats för Fabhalta utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

Mer information om Fabhalta

Den 17 maj 2024 beviljades Fabhalta ett godkännande för försäljning som gäller i hela EU.

Mer information om Fabhalta finns på EMA:s webbplats:

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

Denna sammanfattning uppdaterades senast 03-2025.