



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/140900/2024
EMA/H/C/005764

Fabhalta (*iptacopan*)

Общ преглед на Fabhalta и основания за разрешаване в ЕС

Какво представлява Fabhalta и за какво се използва?

Fabhalta е лекарство, което се използва при възрастни с пароксизмална нощна хемоглобинурия (ПНХ) за лечение на хемолитична анемия.

ПНХ е заболяване, при което прекомерното разграждане на кръвните клетки води до анемия (ниски нива на хемоглобин, протеина в червените кръвни клетки, който пренася кислород в организма), тромбоза (кръвни съсиреци в кръвоносните съдове), панцитопения (ниски нива на кръвните клетки) и тъмна урина (поради отделянето на големи количества хемоглобин в урината).

ПНХ се счита за рядко заболяване и Fabhalta е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) на 4 юни 2020 г. Допълнителна информация за лекарствата сираци можете да намерите на [уебсайта на ЕМА](#).

Fabhalta съдържа активното вещество иптакопан (iptacopan).

Как се използва Fabhalta?

Fabhalta се предлага под формата на капсули, които се приемат през устата два пъти дневно. Ако се пропуснат една или повече дози, лекарството трябва да се приеме възможно най-скоро. Ако се пропуснат многократни дози, пациентите трябва да бъдат наблюдавани за признаци и симптоми на хемолиза.

Лекарственият продукт се отпуска по лекарско предписание.

За повече информация относно употребата на Fabhalta вижте листовката или се свържете с вашия лекар или фармацевт.

Как функционира Fabhalta?

Системата на комплемента е набор от протеини, които са част от имунната система (естествените защитни сили на организма). При пациенти с ПНХ системата на комплемента е свръхактивна и уврежда собствените кръвни клетки на пациентите.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Активното вещество във Fabhalta, иптакопан, блокира протеин от системата на комплемента, наречен „фактор В“. Като блокира фактор В, Fabhalta пречи на системата на комплемента да уврежда клетките, особено на червените кръвни клетки, като по този начин се облекчават симптомите на заболяването.

Какви ползи от Fabhalta са установени в проучванията?

В едно основно проучване, обхващащо 97 пациенти с ПНХ, е показано, че Fabhalta е ефективен за повишаване на нивата на хемоглобина и намаляване на необходимостта от кръвопреливане.

Пациентите в проучването са лекувани преди това с равулизумаб или екулизумаб (други лекарства за ПНХ) в продължение на най-малко 6 месеца и все още са имали анемия. Пациентите приемат Fabhalta или продължават лечението си с равулизумаб или екулизумаб.

След 24 седмици на лечение процентът на пациентите, при които е постигнато повишаване на нивата на хемоглобина с най-малко 2 g/dl без кръвопреливане, е около 82 % при пациентите, приемащи Fabhalta, в сравнение с 2 % при пациентите, които продължават да приемат равулизумаб или екулизумаб. Около 69 % от пациентите, приемащи Fabhalta, постигат нива на хемоглобин от най-малко 12 g/dl без кръвопреливане в сравнение с около 2 % от пациентите, приемащи равулизумаб или екулизумаб.

Данните от допълнително проучване подкрепят употребата на Fabhalta при пациенти с ПНХ, които не са били лекувани преди това.

Какви са рисковете, свързани с Fabhalta?

За пълния списък на нежеланите реакции и ограниченията при Fabhalta вижте листовката.

Най-честите нежелани реакции при Fabhalta (които може да засегнат повече от 1 на 10 души) включват инфекция на горните дихателни пътища (нос и гърло), главоболие и диария. В клиничните проучвания най-честата сериозна нежелана реакция е инфекция на пикочните пътища.

Въз основа на начина, по който действа Fabhalta, той може да увеличи риска от инфекции. Fabhalta не трябва да се прилага при пациенти, които имат текуща инфекция, причинена от така наречените капсулирани бактерии, включително *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* и *Haemophilus influenzae* тип В. Не трябва да се използва и при пациенти, които понастоящем не са ваксинирани срещу *N. meningitidis* и *S. pneumoniae*, освен ако рискът от отлагане на лечението надхвърля риска от развитие на инфекция от тези бактерии.

Защо Fabhalta е разрешен за употреба в ЕС?

Установено е, че Fabhalta е ефективен за повишаване на нивата на хемоглобина и за намаляване на необходимостта от кръвопреливане при пациенти с ПНХ. Най-честите нежелани реакции се считат за неудобни, но не се очаква да представляват риск за пациентите. Поради това Европейската агенция по лекарствата реши, че ползите от употребата на Fabhalta са по-големи от рисковете и този продукт може да бъде разрешен за употреба в ЕС.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Fabhalta?

Фирмата, която предлага Fabhalta, ще предостави на лекаря и пациентите обучителен материал за риска от инфекции, причинени от капсулирани бактерии, и от тежка хемолиза след прекратяване на лечението.

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Fabhalta, които следва да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени също в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Както при всички лекарства, данните във връзка с употребата на Fabhalta непрекъснато се проследяват. Съобщените нежелани реакции, свързани с употребата на Fabhalta, внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

Допълнителна информация за Fabhalta:

Допълнителна информация за Fabhalta можете да намерите на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/fabhalta