



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Fabhalta (*iptakopan*)

Přehled pro přípravek Fabhalta a proč byl přípravek registrován v EU

### Co je přípravek Fabhalta a k čemu se používá?

Fabhalta je léčivý přípravek používaný u dospělých s paroxysmální noční hemoglobinurií k léčbě hemolytické anémie.

Paroxysmální noční hemoglobinurie je onemocnění, při kterém nadměrný rozpad krvinek vede k anémii (nízkým hladinám hemoglobinu, což je bílkovina v červených krvinkách, která v těle přenáší kyslík), trombóze (krevním sraženinám v krevních cévách), pancytopenii (nízkým hladinám krvinek) a tmavé moči (kvůli uvolňování velkého množství hemoglobinu do moči).

Paroxysmální noční hemoglobinurie je vzácné onemocnění a přípravek Fabhalta byl označen dne 4. června 2020 jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete na [internetových stránkách](#) agentury EMA.

Přípravek Fabhalta obsahuje léčivou látku iptakopan.

### Jak se přípravek Fabhalta používá?

Přípravek Fabhalta je dostupný ve formě tobolek určených k užití ústy dvakrát denně. Pokud dojde k vynechání jedné nebo více dávek, je třeba léčivý přípravek užít co nejdříve. Pokud dojde k vynechání několika dávek za sebou, pacienti by měli být sledováni, zda se u nich neobjeví známky a příznaky hemolýzy.

Výdej léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis.

Více informací o používání přípravku Fabhalta naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

### Jak přípravek Fabhalta působí?

Komplementový systém je soubor proteinů (bílkovin), který tvoří součást imunitního systému (přirozeného obranného systému těla). U pacientů s paroxysmální noční hemoglobinurií je komplementový systém nadměrně aktivní a poškozují jejich vlastní krvinky.



Léčivá látka v přípravku Fabhalta, iptakopan, blokuje bílkovinu komplementového systému zvanou „faktor B“. Blokováním faktoru B přípravek Fabhalta zabraňuje komplementovému systému poškozovat buňky, zejména červené krvinky, čímž pomáhá zmírňovat příznaky onemocnění.

## **Jaké přínosy přípravku Fabhalta byly prokázány v průběhu studií?**

V jedné hlavní studii, do které bylo zařazeno 97 pacientů s paroxysmální noční hemoglobinurií, bylo prokázáno, že přípravek Fabhalta je účinný při zvyšování hladin hemoglobinu a snižování potřeby krevních transfuzí.

Pacienti v této studii byli v minulosti léčeni ravulizumabem nebo ekulizumabem (jinými léčivými přípravky k léčbě paroxysmální noční hemoglobinurie) po dobu nejméně 6 měsíců, přičemž stále trpěli anémií. Pacienti užívali buď přípravek Fabhalta, nebo pokračovali v léčbě ravulizumabem či ekulizumabem.

Po 24 týdnech léčby činil procentní podíl pacientů, u nichž bylo dosaženo zvýšení hladin hemoglobinu o nejméně 2 g/dl bez krevních transfuzí, přibližně 82 % u pacientů užívajících přípravek Fabhalta v porovnání s 2 % pacientů, kteří pokračovali v léčbě ravulizumabem či ekulizumabem. Hladin hemoglobinu v hodnotě alespoň 12 g/dl dosáhlo bez krevních transfuzí přibližně 69 % pacientů užívajících přípravek Fabhalta v porovnání s přibližně 2 % pacientů užívajících ravulizumab nebo ekulizumab.

Údaje z další studie podpořily použití přípravku Fabhalta u pacientů s paroxysmální noční hemoglobinurií, kteří dosud nebyli léčeni.

## **Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Fabhalta?**

Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení přípravku Fabhalta je uveden v příbalové informaci.

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Fabhalta (které mohou postihnout více než 1 osobu z 10) jsou infekce horních cest dýchacích (nosu a krku), bolest hlavy a průjem. V klinických studiích byla nejčastějším závažným nežádoucím účinkem infekce močových cest.

Mechanismu účinku přípravku Fabhalta může zvýšit riziko infekcí. Přípravek Fabhalta nesmějí užívat pacienti, kteří trpí nevléčenou infekcí způsobenou tzv. opouzdřenými bakteriemi, včetně bakterií *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* a *Haemophilus influenzae* typu B. Nesmějí jej užívat ani pacienti, kteří v současné době nejsou očkovaní proti bakteriím *N. meningitidis* a *S. pneumoniae*, s výjimkou případů, kdy riziko oddálení léčby převáží riziko rozvoje infekce způsobené těmito bakteriemi.

## **Na základě čeho byl přípravek Fabhalta registrován v EU?**

Bylo prokázáno, že přípravek Fabhalta je účinný při zvyšování hladin hemoglobinu a snižování potřeby krevních transfuzí u pacientů s paroxysmální noční hemoglobinurií. Nejčastější nežádoucí účinky jsou považovány za nepříjemné, ale neočekává se, že by pro pacienty představovaly riziko. Evropská agentura pro léčivé přípravky proto rozhodla, že přínosy přípravku Fabhalta převyšují jeho rizika, a může tak být registrován k použití v EU.

## **Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Fabhalta?**

Společnost, která přípravek Fabhalta dodává na trh, poskytne lékařům a pacientům vzdělávací materiály o riziku infekcí způsobených opouzdřenými bakteriemi a závažné hemolýzy po ukončení léčby.

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla rovněž zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Fabhalta, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Fabhalta průběžně sledovány. Podezření na nežádoucí účinky nahlášená v souvislosti s přípravkem Fabhalta jsou pečlivě hodnocena a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

## **Další informace o přípravku Fabhalta**

Další informace o přípravku Fabhalta jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/fabhalta](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/fabhalta).