



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Fabhalta (*iptacopán*)

Información general sobre Fabhalta y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

¿Qué es Fabhalta y para qué se utiliza?

Fabhalta es un medicamento indicado en el tratamiento de adultos con hemoglobinuria paroxística nocturna (HPN) que presentan anemia hemolítica.

La HPN es una enfermedad en la que la excesiva degradación de las células sanguíneas provoca anemia (niveles bajos de hemoglobina, la proteína de los glóbulos rojos que transporta el oxígeno por todo el organismo), trombosis (coágulos de sangre en los vasos sanguíneos), pancitopenia (niveles bajos de células sanguíneas) y orina oscura (debido a que grandes cantidades de hemoglobina se liberan a la orina).

La HPN es una enfermedad «rara», y Fabhalta fue designado «medicamento huérfano» (un medicamento utilizado para tratar enfermedades raras) el 4 de junio de 2020. Puede encontrar más información sobre la designación de medicamento huérfano en la [página web](#) de la EMA.

Fabhalta contiene el principio activo iptacopán.

¿Cómo se usa Fabhalta?

Fabhalta se presenta en cápsulas que se toman por vía oral dos veces al día. Si se olvida una o más dosis, el medicamento debe tomarse lo antes posible. Si se olvidan varias dosis, los pacientes deberán ser monitorizados para detectar signos y síntomas de hemólisis.

Este medicamento solo se podrá dispensar con receta médica.

Si desea más información sobre el uso de Fabhalta, lea el prospecto o consulte a su médico o farmacéutico.

¿Cómo actúa Fabhalta?

El sistema del complemento es un conjunto de proteínas que forma parte del sistema inmunitario (las defensas naturales del organismo). En los pacientes con HPN, el sistema del complemento tiene su actividad aumentada y daña los glóbulos rojos (propios) de los pacientes.

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



El principio activo de Fabhalta, el iptacopán, bloquea una proteína del sistema del complemento denominada «factor B». Al bloquear el factor B, Fabhalta impide que el sistema del complemento dañe las células, especialmente los glóbulos rojos, contribuyendo así a aliviar los síntomas de la enfermedad.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Fabhalta en los estudios realizados?

Fabhalta demostró ser eficaz para aumentar los niveles de hemoglobina y reducir la necesidad de transfusiones de sangre en un estudio principal en el que participaron 97 pacientes con HPN.

Los pacientes del estudio habían sido tratados previamente con ravulizumab o eculizumab (otros medicamentos para la HPN) durante al menos 6 meses y seguían padeciendo anemia. Los pacientes tomaron Fabhalta o continuaron su tratamiento con ravulizumab o eculizumab.

Después de 24 semanas de tratamiento, el porcentaje de pacientes que lograron un aumento de los niveles de hemoglobina de al menos 2 g/dl sin transfusiones sanguíneas fue de alrededor del 82 % en los pacientes que tomaron Fabhalta, en comparación con el 2 % de los pacientes que continuaron con ravulizumab o eculizumab. Alrededor del 69 % de los pacientes que tomaron Fabhalta alcanzaron niveles de hemoglobina de al menos 12 g/dl sin transfusiones de sangre, en comparación con alrededor del 2 % de los pacientes que tomaron ravulizumab o eculizumab.

Los datos de un estudio adicional apoyaron el uso de Fabhalta en pacientes con HPN que no habían sido tratados previamente.

¿Cuáles son los riesgos asociados a Fabhalta?

La lista completa de efectos adversos y restricciones de Fabhalta se puede consultar en el prospecto.

Los efectos adversos más frecuentes de Fabhalta (pueden afectar a más de 1 de cada 10 pacientes) son infección de las vías respiratorias superiores (nariz y garganta), dolor de cabeza y diarrea. En los estudios clínicos, el efecto adverso grave más frecuente fue la infección del tracto urinario.

Basándose en su mecanismo de acción, Fabhalta puede aumentar el riesgo de infecciones. Fabhalta no debe administrarse a pacientes que tengan una infección continua causada por las denominadas bacterias encapsuladas, como *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* o *Haemophilus influenzae* de tipo B. Tampoco debe administrarse a pacientes que no estén vacunados actualmente contra *N. meningitidis* o *S. pneumoniae*, a menos que el riesgo de retrasar el tratamiento supere el riesgo de desarrollar una infección por estas bacterias.

¿Por qué se ha autorizado Fabhalta en la UE?

Fabhalta demostró ser eficaz para aumentar los niveles de hemoglobina y reducir la necesidad de transfusiones de sangre en los pacientes con HPN. Los efectos adversos más frecuentes se consideran inconvenientes, pero no se espera que supongan un riesgo para los pacientes. La Agencia Europea de Medicamentos decidió que los beneficios de Fabhalta eran mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Fabhalta?

La compañía que comercializa Fabhalta proporcionará al médico y a los pacientes material formativo sobre el riesgo de infecciones causadas por bacterias encapsuladas y de hemólisis grave tras la finalización del tratamiento.

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Fabhalta se han incluido también en la ficha técnica o resumen de las características del producto y en el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Fabhalta se controlan de forma continua. Los supuestos efectos adversos notificados de Fabhalta se evalúan cuidadosamente, y se adoptan las medidas que puedan resultar necesarias para proteger a los pacientes.

Otra información sobre Fabhalta

Puede encontrar más información sobre Fabhalta en la página web de la Agencia:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/fabhalta