



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Fabhalta (*iptakopaani*)

Yleistiedot Fabhalta-valmisteesta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

### Mitä Fabhalta on ja mihin sitä käytetään?

Fabhalta on lääke, jota käytetään kohtauksittaista yöllistä hemoglobiuriaa (PNH) sairastavien aikuisten hemolyyttisen anemian hoitoon.

PNH on sairaus, jossa verisolujen liiallinen hajoaminen johtaa anemiaan (alhainen hemoglobiinipitoisuus; hemoglobiini on veren punasolujen proteiini, joka kuljettaa happea kehon eri osiin), tromboosiin (verihyytymät verisuonissa), pansytopeniaan (alhainen verisolujen määrä) ja virtsan tummuuteen (koska virtsaan vapautuu suuria määriä hemoglobiinia).

PNH on harvinainen sairaus. Fabhalta nimettiin ns. harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 4. kesäkuuta 2020. Lisätietoa harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on EMAn [verkkosivustolla](#).

Fabhaltan vaikuttava aine on iptakopaani.

### Miten Fabhaltaa käytetään?

Fabhaltaa on saatavana kapseleina, jotka otetaan suun kautta kahdesti vuorokaudessa. Jos yksi tai useampi annos jää väliin, lääke on otettava mahdollisimman pian. Jos useita annoksia jää väliin, potilaita on seurattava hemolyysin merkkien ja oireiden varalta.

Lääkevalmistetta saa ainoastaan lääkärin määräyksestä.

Lisätietoja Fabhalta-valmisteen käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

### Miten Fabhalta vaikuttaa?

Komplementtijärjestelmä on joukko proteiineja, jotka ovat osa immuunijärjestelmää (kehon luonnollista puolustusmekanismia). PNH:ta sairastavilla potilailla komplementtijärjestelmä on liian aktiivinen, jolloin se vahingoittaa potilaiden omia verisoluja.

Fabhaltan vaikuttava aine iptakopaani estää tekijä B:ksi kutsutun komplementtijärjestelmän proteiinin toimintaa. Estämällä tekijä B:n toiminnan Fabhalta estää komplementtijärjestelmää vahingoittamasta soluja, erityisesti veren punasoluja, mikä auttaa lievittämään sairauden oireita.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

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

An agency of the European Union



## Mitä hyötyä Fabhaltasta on havaittu tutkimuksissa?

Yhdessä päätutkimuksessa, johon osallistui 97 PNH-potilasta, Fabhaltan osoitettiin nostavan tehokkaasti hemoglobiinipitoisuutta ja vähentävän verensiirtojen tarvetta.

Tutkimukseen osallistuneita potilaita oli hoidettu aiemmin ravulitsumabilla tai ekulitsumabilla (muita PNH-lääkkeitä) vähintään kuuden kuukauden ajan, ja heillä oli edelleen anemia. Potilaat saivat joko Fabhaltaa tai jatkoivat hoitoa ravulitsumabilla tai ekulitsumabilla.

24 hoitoviikon jälkeen niiden potilaiden osuus, joiden hemoglobiinipitoisuus oli noussut vähintään 2 g/dl ilman verensiirtoja, oli noin 82 prosenttia Fabhaltaa saaneista potilaista, kun ravulitsumabia tai ekulitsumabia saaneilla potilailla vastaava osuus oli 2 prosenttia. Noin 69 prosentilla Fabhaltaa saaneista potilaista hemoglobiinipitoisuus oli vähintään 12 g/dL ilman verensiirtoja, kun ravulitsumabia tai ekulitsumabia saaneilla potilailla vastaava osuus oli noin 2 prosenttia.

Lisätutkimuksesta saadut tiedot tukivat Fabhaltan käyttöä PNH-potilailla, joita ei ollut hoidettu aiemmin.

## Mitä riskejä Fabhaltaan liittyy?

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Fabhaltan ilmoitetuista haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Fabhaltan yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat ylähengitysteiden (nenän ja nielun) infektiot, päänsärky ja ripuli. Kliinisissä tutkimuksissa yleisin vakava haittavaikutus oli virtsatieinfektio.

Vaikutusmekanisminsa takia Fabhalta voi lisätä infektioiden riskiä. Fabhaltaa ei saa antaa potilaille, joilla on nk. kapselillisten bakteerien, mukaan lukien *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* ja *Haemophilus influenzae*, tyyppi B, aiheuttama meneillään oleva infektio. Sitä eivät myöskään saa käyttää potilaat, joita ei ole tällä hetkellä rokotettu *N. meningitidis*- ja *S. pneumoniae* -bakteeria vastaan, paitsi jos hoidon viivästyttämisestä aiheutuva riski on suurempi kuin näiden bakteerien aiheuttaman infektion kehittymisen riski.

## Miksi Fabhalta on hyväksytty EU:ssa?

Fabhaltan osoitettiin nostavan tehokkaasti hemoglobiinipitoisuutta ja vähentävän verensiirtojen tarvetta PNH-potilailla. Yleisimpiä haittavaikutuksia pidetään epämukavina, mutta niiden ei odoteta aiheuttavan riskiä potilaille. Euroopan lääkevirasto katsoi, että Fabhaltan hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

## Miten voidaan varmistaa Fabhaltan turvallinen ja tehokas käyttö?

Fabhaltaa markkinoiva yhtiö toimittaa lääkäreille ja potilaille perehdytysaineistoa kapselillisten bakteerien aiheuttamien infektioiden ja vakavan hemolyyysin riskistä hoidon päättymisen jälkeen.

Suosituksien ja varotoimien, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Fabhaltan käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät myös valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Fabhalta-valmisteen käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Fabhalta-valmisteesta ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

## **Muita tietoja Fabhaltasta**

Lisätietoja Fabhaltasta on viraston verkkosivustolla osoitteessa  
[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/fabhalta](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/fabhalta)