



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Fabhalta (*iptacopan*)

Aperçu de Fabhalta et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

Qu'est-ce que Fabhalta et dans quel cas est-il utilisé?

Fabhalta est un médicament utilisé pour traiter l'anémie hémolytique chez les adultes atteints d'hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN).

L'HPN est une maladie caractérisée par une dégradation excessive des cellules sanguines qui engendre les troubles suivants: anémie (faibles taux d'hémoglobine, la protéine présente dans les globules rouges qui transporte l'oxygène dans le corps), thrombose (caillots sanguins dans les vaisseaux sanguins), pancytopénie (faibles taux de cellules sanguines) et urines foncées (en raison de grandes quantités d'hémoglobine libérées dans les urines).

L'HPN est rare et Fabhalta a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 4 juin 2020. Des informations complémentaires sur les désignations de médicaments orphelins sont disponibles sur le [site web de l'EMA](#).

Fabhalta contient la substance active iptacopan.

Comment Fabhalta est-il utilisé?

Fabhalta est disponible sous forme de gélules à prendre par voie orale deux fois par jour. En cas d'oubli d'une ou de plusieurs doses, le médicament doit être pris dès que possible. En cas d'oubli de doses multiples, les patients doivent être surveillés afin de détecter tout signe ou symptôme d'hémolyse.

Le médicament n'est délivré que sur ordonnance.

Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation de Fabhalta, voir la notice ou contacter votre médecin ou votre pharmacien.

Comment Fabhalta agit-il?

Le système du complément est un ensemble de protéines qui font partie du système immunitaire (les défenses naturelles du corps). Chez les patients atteints d'HPN, le système du complément est hyperactif et endommage les propres cellules sanguines des patients.

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



La substance active de Fabhalta, l'iptacopan, bloque une protéine du système du complément appelée «facteur B». En bloquant le facteur B, Fabhalta empêche le système du complément d'endommager les cellules, en particulier les globules rouges, contribuant ainsi à soulager les symptômes de la maladie.

Quels sont les bénéfices de Fabhalta démontrés au cours des études?

Fabhalta s'est avéré efficace pour augmenter les taux d'hémoglobine et réduire le besoin de transfusions sanguines dans le cadre d'une étude principale portant sur 97 patients atteints d'HPN.

Les patients participant à l'étude avaient précédemment été traités par ravulizumab ou éculizumab (d'autres médicaments utilisés pour traiter l'HPN) depuis au moins 6 mois et présentaient toujours une anémie. Les patients ont reçu Fabhalta ou ont poursuivi leur traitement par ravulizumab ou éculizumab.

Après 24 semaines de traitement, le pourcentage de patients présentant une augmentation des taux d'hémoglobine d'au moins 2 g/dL sans transfusions sanguines était de près de 82 % chez les patients sous Fabhalta, contre 2 % des patients toujours sous ravulizumab ou éculizumab. Environ 69 % des patients sous Fabhalta ont obtenu des taux d'hémoglobine d'au moins 12 g/dL sans transfusions sanguines, contre environ 2 % des patients prenant du ravulizumab ou de l'éculizumab.

Les données provenant d'une étude supplémentaire ont étayé l'utilisation de Fabhalta chez les patients atteints d'HPN non traités au préalable.

Quels sont les risques associés à l'utilisation de Fabhalta?

Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions associés à Fabhalta, voir la notice.

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Fabhalta (qui peuvent toucher plus d'une personne sur 10) sont notamment les suivants: infection des voies respiratoires supérieures (nez et gorge), maux de tête et diarrhée. Au cours des études cliniques, l'effet indésirable grave le plus fréquent a été l'infection urinaire.

Fabhalta est susceptible d'augmenter le risque d'infections selon son mode d'action. Fabhalta ne doit pas être utilisé chez les patients qui présentent une infection causée par des bactéries dites encapsulées, notamment *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* et *Haemophilus influenzae* de type B. Le médicament ne doit pas non plus être utilisé chez les patients qui ne sont pas actuellement vaccinés contre *N. meningitidis* et *S. pneumoniae*, à moins que le risque de retarder le traitement ne l'emporte sur le risque de développer une infection causée par ces bactéries.

Pourquoi Fabhalta est-il autorisé dans l'UE?

Fabhalta s'est avéré efficace pour augmenter les taux d'hémoglobine et réduire le besoin de transfusions sanguines chez les patients atteints d'HPN. Les effets indésirables les plus couramment observés sont considérés comme gênants mais ne devraient pas présenter de risque pour les patients. Dès lors, l'Agence européenne des médicaments a estimé que les bénéfices de Fabhalta sont supérieurs à ses risques et que son utilisation peut être autorisée au sein de l'UE.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Fabhalta?

La société qui commercialise Fabhalta fournira aux médecins et aux patients du matériel pédagogique sur le risque d'infections causé par les bactéries encapsulées et d'hémolyse grave après la fin du traitement.

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Fabhalta ont également été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation de Fabhalta sont surveillées en permanence. Les effets indésirables suspectés rapportés sous Fabhalta sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

Autres informations relatives à Fabhalta:

De plus amples informations sur Fabhalta sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/fabhalta