EMA/81001/2025
EMEA/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). La 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).
- la glomérulopathie du complément 3 (GC3) chez l'adulte, soit en association avec un inhibiteur du SRA (un médicament qui agit sur le système rénine-angiotensine), soit seul chez les patients qui ne peuvent pas prendre un inhibiteur du SRA. La GC3 est une maladie au cours de laquelle une atteinte progressive des reins empêche une filtration correcte du sang, ce qui entraîne une accumulation de toxines, une diminution de la production d'urine et un gonflement.

La HPN et la GC3 sont rares et Fabhalta a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares). Des informations complémentaires sur les désignations de médicaments orphelins sont disponibles sur le site web de l'EMA (HPN: 4 juin 2020; GC3: 4 décembre 2018).

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. Chez les patients atteints d'HPN, en cas d'oubli de doses multiples, les patients doivent être surveillés afin de détecter tout signe ou symptôme d'hémolyse (dégradation anormale des globules rouges).

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.

© European Medicines Agency, 2025. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

Comment Fabhalta agit-il?

Le système du complément est un ensemble de protéines qui fait partie du système immunitaire (les défenses naturelles de l'organisme). Chez les patients atteints d'HPN et de GC3, le système du complément est hyperactif et endommage les propres cellules des patients, en particulier les globules rouges dans la HPN et les cellules rénales dans la GC3.

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 globules rouges dans la HPN et les cellules rénales dans la GC3, contribuant ainsi à soulager les symptômes de ces maladies.

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

HPN

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 la 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.

GC3

Fabhalta s'est avéré plus efficace que le placebo pour réduire les lésions rénales dans une étude principale portant sur 74 patients atteints de GC3. Les patients de l'étude ont déjà été traités pour le GC3 par d'autres médicaments tels que les inhibiteurs du SRA et les immunosuppresseurs (corticostéroïdes, mycophénolate mofétil ou mycophénolate sodique).

Le principal critère d'évaluation de l'efficacité était le taux de protéines dans l'urine des patients. Étant donné que les reins sains conservent presque toutes les protéines dans le sang, la présence de protéines dans l'urine indique des lésions rénales.

Après 6 mois de traitement, les patients sous Fabhalta présentaient une réduction d'environ 35 % de leurs taux de protéines urinaires par rapport à ceux ayant reçu un placebo. Cet effet a été maintenu après 12 mois de traitement.

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.

Chez les patients atteints d'HPN, 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. L'effet indésirable grave le plus

couramment observé sous Fabhalta est l'infection des voies urinaires (infection des parties du corps qui collectent et éliminent l'urine), qui peut toucher jusqu'à un patient sur 10.

Chez les patients atteints de GC3, les effets indésirables les plus couramment observés sous Fabhalta (qui peuvent toucher plus d'une personne sur 10) comprennent l'infection des voies respiratoires supérieures. L'effet indésirable grave le plus fréquent est l'infection à pneumocoques, qui peut toucher jusqu'à 1 personnes sur 10.

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. Il a également été démontré qu'il réduit l'accumulation de protéines dans l'urine des patients atteints de GC3, ce qui suggère une réduction des lésions rénales. 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 éducatif concernant le risque d'infection par des bactéries encapsulées et la nécessité pour les patients de recevoir une vaccination appropriée. Pour les patients atteints d'HPN, le matériel éducatif contient également des informations sur le risque d'hémolyse grave lors de l'arrêt du traitement par Fabhalta.

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:

Une autorisation de mise sur le marché valide dans toute l'UE a été délivrée pour Fabhalta, le 17 mai 2024.

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

Dernière mise à jour du présent aperçu: 03-2025.