



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Fabhalta (*iptakopán*)

A Fabhalta-ra vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer a Fabhalta és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Fabhalta-t paroxizmális nokturnális hemoglobinuriában (PNH) szenvedő felnőtteknél alkalmazzák a hemolitikus anémia kezelésére.

A PNH egy olyan betegség, amelyben a vörösvérsejtek túlzott lebomlása vérszegénységet (a hemoglobin, azaz a vörösvérsejtekben található, az oxigént a szervezetben szállító fehérje alacsony szintje), trombózist (vérrögképződés az erekben), pánцитopéniát (a vörösvérsejtek alacsony szintje) és sötét vizeletet (a hemoglobin nagy mennyiségben történő felszabadulása miatt) okoz.

Mivel a PNH „ritkának” minősül, ezért a Fabhalta-t 2020. június 4-én „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről az EMA [honlapján](#) található.

A Fabhalta hatóanyaga az iptakopán.

Hogyan kell alkalmazni a Fabhalta-t?

A Fabhalta kapszula formájában kapható, amelyet szájon át, naponta kétszer kell bevenni. Ha egy vagy több adag kimaradt, a gyógyszert a lehető leghamarabb be kell venni. Ha többszöri adag maradt ki, a betegeknél figyelemmel kell kísérni a hemolízis jeleit és tüneteit.

A gyógyszer csak receptre kapható.

A Fabhalta alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

Hogyan fejti ki hatását a Fabhalta?

A komplementrendszer az immunrendszer (a szervezet természetes védekezőrendszere) részét képező fehérjék csoportja. A PNH-ban szenvedő betegeknél a komplementrendszer túlzottan aktív, és károsítja a beteg saját vörösvérsejtjeit.

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



A Fabhalta hatóanyaga, az iptakopán gátolja a komplementrendszer „B faktor” nevű fehérjéjét. A B-faktor gátlásával a Fabhalta megakadályozza, hogy a komplementrendszer károsítsa a sejteket, különösen a vörösvérsejteket, ezáltal elősegíti a betegség tüneteinek enyhülését.

Milyen előnyei voltak a Fabhalta alkalmazásának a vizsgálatok során?

Egy 97 PNH-ban szenvedő beteg részvételével végzett fő vizsgálatban a Fabhalta hatásosnak bizonyult a hemoglobinszint növelésében és a vérátömlesztés szükségességének csökkentésében.

A vizsgálatban részt vevő betegeket korábban legalább 6 hónapig ravulizumabdal vagy eculizumabbal (a PNH kezelésére szolgáló más gyógyszerekkel) kezelték, és még mindig vérszegénységben szenvedtek. A betegek vagy Fabhalta-t kaptak, vagy folytatták a ravulizumabdal vagy eculizumabdal végzett kezelésüket.

24 hetes kezelést követően a vérátömlesztés nélkül legalább 2 g/dl-es hemoglobinszint-emelkedést elérő betegek aránya körülbelül 82% volt a Fabhalta-val kezelt betegeknél, szemben a továbbra is ravulizumabdal vagy eculizumabdal kezelt betegeknél tapasztalt 2%-kal. A Fabhalta-t szedő betegek mintegy 69%-a legalább 12 g/dl hemoglobinszintet ért el vérátömlesztés nélkül, szemben a ravulizumabdal vagy eculizumabdal szedő betegek mintegy 2%-ával.

Egy további vizsgálatból származó adatok alátámasztották a Fabhalta alkalmazását olyan, PNH-ban szenvedő betegeknél, akiket korábban nem kezelték.

Milyen kockázatokkal jár a Fabhalta alkalmazása?

A Fabhalta alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

A Fabhalta leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a felső légúti fertőzés (orr- és torokfertőzés), a fejfájás és a hasmenés. A klinikai vizsgálatok során a leggyakoribb súlyos mellékhatás a húgyúti fertőzés volt.

A Fabhalta hatásmechanizmusa miatt növelheti a fertőzések kockázatát. A Fabhalta nem alkalmazható olyan betegeknél, akiknél ún. enkapszulált baktérium, például *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* és B. típusú *Haemophilus influenzae* okozta fertőzés áll fenn. A készítmény olyan betegeknél sem alkalmazható, akik nincsenek beoltva *N. meningitidis* és *S. pneumoniae* ellen, kivéve, ha a kezelés késleltetésének kockázata meghaladja az ilyen baktériumok okozta fertőzés kialakulásának kockázatát.

Miért engedélyezték a Fabhalta forgalomba hozatalát az EU-ban?

A PNH-ban szenvedő betegeknél a Fabhalta hatásosnak bizonyult a hemoglobinszint növelésében és a vérátömlesztés szükségességének csökkentésében. A leggyakoribb mellékhatások kellemetlenek, de várhatóan nem jelentenek kockázatot a betegek számára. Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Fabhalta alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Fabhalta biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Fabhalta-t forgalmazó vállalat oktatóanyagot fog biztosítani az orvosok és a betegek számára az enkapszulált baktériumok által okozott fertőzések és a súlyos hemolízis kezelés utáni kockázatával kapcsolatban.

A Fabhalta biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Fabhalta alkalmazásával kapcsolatos információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. A Fabhalta alkalmazásával összefüggésben jelentett feltételezett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

A Fabhalta-val kapcsolatos egyéb információ

A Fabhalta-val kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/fabhalta