



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/81001/2025
EMA/H/C/005764

Fabhalta (*iptacopan*)

Sintesi di Fabhalta e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Fabhalta e per cosa si usa?

Fabhalta è un medicinale usato per il trattamento di:

- anemia emolitica in adulti affetti da emoglobinuria parossistica notturna (EPN). L'EPN è una malattia in cui l'eccessiva degradazione delle cellule ematiche provoca anemia (bassi livelli di emoglobina, la proteina dei globuli rossi che trasporta l'ossigeno nell'organismo), trombosi (coaguli nei vasi sanguigni), pancitopenia (bassi livelli di cellule ematiche) e urine scure (a causa del rilascio di grandi quantità di emoglobina nelle urine);
- glomerulopatia da complemento 3 (C3G) negli adulti, in associazione con un inibitore RAS (un medicinale che agisce sul sistema renina-angiotensina) o da solo in pazienti che non possono assumere un inibitore RAS. Il C3G è una malattia caratterizzata da una degenerazione progressiva della funzione renale, che porta a una compromissione della capacità dei reni di filtrare efficacemente il sangue, con conseguente accumulo di tossine, riduzione della produzione di urine e gonfiore.

L'EPN e il C3G sono rari e Fabhalta è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare). Ulteriori informazioni sulle designazioni di medicinale orfano sono disponibili sul [sito web dell'EMA](#) (EPN: 4 giugno 2020; C3G: 4 dicembre 2018).

Fabhalta contiene il principio attivo iptacopan.

Come si usa Fabhalta?

Fabhalta è disponibile sotto forma di capsule da assumere per via orale due volte al giorno.

In caso di mancata assunzione di una o più dosi, il medicinale deve essere assunto il prima possibile. In tal caso, i pazienti affetti da EPN devono essere monitorati per rilevare eventuali segni e sintomi di emolisi (distruzione anomala dei globuli rossi).

Il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica.

Per maggiori informazioni sull'uso di Fabhalta, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

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



Come agisce Fabhalta?

Il sistema del complemento è un gruppo di proteine che fa parte del sistema immunitario (le difese naturali dell'organismo). Nei pazienti affetti da EPN e C3G, il sistema del complemento è iperattivo e danneggia le cellule del paziente, in particolare i globuli rossi nell'EPN e le cellule renali nel C3G.

Il principio attivo di Fabhalta, iptacopan, blocca una proteina del complemento denominata "fattore B". Bloccando il fattore B, Fabhalta impedisce al sistema del complemento di danneggiare i globuli rossi nell'EPN e le cellule renali nel C3G, contribuendo in tal modo ad alleviare i sintomi di tali malattie.

Quali benefici di Fabhalta sono stati evidenziati negli studi?

EPN

In uno studio principale su 97 pazienti affetti da EPN, Fabhalta si è dimostrato efficace nell'aumentare i livelli di emoglobina e nel ridurre la necessità di trasfusioni di sangue.

I pazienti dello studio erano stati precedentemente trattati con ravulizumab o eculizumab (altri medicinali per l'EPN) per almeno 6 mesi e presentavano ancora anemia. I pazienti hanno assunto Fabhalta o proseguito il trattamento con ravulizumab o eculizumab. Dopo 24 settimane di trattamento, la percentuale di pazienti che avevano raggiunto un aumento dei livelli di emoglobina di almeno 2 g/dL senza trasfusioni di sangue era pari a circa l'82 % nel gruppo trattato con Fabhalta, rispetto al 2 % nel gruppo che aveva continuato il trattamento con ravulizumab o eculizumab. Circa il 69 % dei pazienti trattati con Fabhalta aveva raggiunto livelli di emoglobina di almeno 12 g/dL senza trasfusioni di sangue, rispetto a circa il 2 % dei pazienti che assumevano ravulizumab o eculizumab.

I dati di un ulteriore studio hanno sostenuto l'uso di Fabhalta in pazienti affetti da EPN non trattati in precedenza.

C3G

In uno studio principale condotto su 74 pazienti affetti da C3G, Fabhalta si è dimostrato più efficace del placebo nel ridurre i danni ai reni. I pazienti oggetto dello studio sono già stati trattati per il C3G con altri medicinali quali inibitori RAS e immunosoppressori (corticosteroidi, micofenolato mofetile o micofenolato sodio).

Il principale indicatore dell'efficacia era costituito dai livelli di proteine nelle urine dei pazienti. Poiché i reni sani mantengono quasi tutte le proteine nel sangue, la presenza di proteine nelle urine indica danni ai reni.

Dopo 6 mesi di trattamento, i pazienti trattati con Fabhalta presentavano una riduzione di circa il 35 % dei livelli di proteine nelle urine rispetto ai pazienti ai quali era stato somministrato placebo. Questo effetto si è mantenuto dopo 12 mesi di trattamento.

Quali sono i rischi associati a Fabhalta?

Per l'elenco completo delle limitazioni e degli effetti indesiderati rilevati con Fabhalta, vedere il foglio illustrativo.

Nei pazienti affetti da EPN, gli effetti indesiderati più comuni di Fabhalta (che possono riguardare più di 1 persona su 10) comprendono infezione del tratto respiratorio superiore (naso e gola), mal di testa e diarrea. L'effetto indesiderato grave più comune di Fabhalta è l'infezione del tratto urinario (infezione delle parti dell'organismo che raccolgono ed eliminano l'urina), che può riguardare fino a 1 paziente su 10.

Nei pazienti affetti da C3G, gli effetti indesiderati più comuni di Fabhalta (che possono riguardare più di 1 persona su 10) comprendono l'infezione del tratto respiratorio superiore. L'effetto indesiderato grave più comune è l'infezione da pneumococco, che può riguardare fino a 1 persona su 10.

In base alla sua azione, Fabhalta può aumentare il rischio di infezioni. Fabhalta non deve essere usato da pazienti con un'infezione in corso causata da cosiddetti batteri capsulati, tra cui *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* e *Haemophilus influenzae* di tipo B né da pazienti non vaccinati contro *N. meningitidis* e *S. pneumoniae* a meno che il rischio di ritardare il trattamento non superi il rischio di sviluppare un'infezione provocata da questi batteri.

Perché Fabhalta è autorizzato nell'UE?

Fabhalta si è dimostrato efficace nell'aumentare i livelli di emoglobina e nel ridurre la necessità di trasfusioni di sangue nei pazienti affetti da EPN. È stato inoltre dimostrato che riduce l'accumulo di proteine nelle urine dei pazienti affetti da C3G, il che indica una riduzione del danno renale. Gli effetti indesiderati più comuni sono considerati fastidi, ma non si prevede che rappresentino un rischio per i pazienti. Pertanto, l'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Fabhalta sono superiori ai rischi e che il suo uso può essere autorizzato nell'UE.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Fabhalta?

La ditta che commercializza Fabhalta fornirà ai medici e ai pazienti materiale informativo sul rischio di infezione da batteri capsulati e sulla necessità che i pazienti ricevano un'adeguata vaccinazione. Per i pazienti affetti da EPN, i materiali includono anche informazioni sul rischio di emolisi grave quando si interrompe il trattamento con Fabhalta.

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Fabhalta sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate anche nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Fabhalta sono costantemente monitorati. I presunti effetti indesiderati riportati con Fabhalta sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Fabhalta

Fabhalta ha ricevuto un'autorizzazione all'immissione in commercio valida in tutta l'UE il 17 maggio 2024.

Ulteriori informazioni su Fabhalta sono disponibili sul sito web dell'Agenzia: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/fabhalta.

Ultimo aggiornamento della presente sintesi: 03-2025.