



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/140900/2024
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 negli adulti affetti da emoglobinuria parossistica notturna (EPN) per il trattamento dell'anemia emolitica.

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).

L'EPN è rara e Fabhalta è stato qualificato come «medicinale orfano» (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 4 giugno 2020. Ulteriori informazioni sulla qualifica di medicinale orfano sono disponibili sul [sito web](#) dell'EMA.

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 caso di mancata assunzione di più dosi, è necessario monitorare i pazienti per verificare l'eventuale comparsa di segni e sintomi di emolisi.

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.

Come agisce Fabhalta?

Il complemento è un insieme di proteine che fa parte del sistema immunitario (le difese naturali dell'organismo). Nei pazienti affetti da EPN, il complemento è iperattivo e danneggia le cellule ematiche.

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



Il principio attivo di Fabhalta, iptacopan, blocca una proteina del complemento denominata "fattore B". Bloccando il fattore B, Fabhalta impedisce al complemento di danneggiare le cellule, in particolare i globuli rossi, contribuendo in tal modo ad alleviare i sintomi della malattia.

Quali benefici di Fabhalta sono stati evidenziati negli studi?

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.

Quali sono i rischi associati a Fabhalta?

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

Gli effetti indesiderati più comuni di Fabhalta (che possono riguardare più di 1 persona su 10) comprendono infezione delle vie respiratorie superiori (naso e gola), cefalea e diarrea. L'effetto indesiderato grave più comune rilevato negli studi clinici è stato l'infezione delle vie urinarie.

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. Gli effetti indesiderati più comuni, pur causando disagio, non sono considerati 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 infezioni causate da batteri capsulati e di emolisi grave a seguito dell'interruzione del trattamento.

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

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