



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Fabhalta (*iptakopāns*)

*Fabhalta* pārskats un kāpēc tās ir reģistrētas ES

### Kas ir *Fabhalta* un kāpēc tās lieto?

*Fabhalta* ir zāles, lai ārstētu hemolītisko anēmiju pieaugušajiem ar paroksismālo nakts hemoglobīnūriju (PNH).

PNH ir slimība, kuras gadījumā asins šūnu pārmērīgas noārdīšanās rezultātā iestājas anēmija (zems hemoglobīna līmenis, kas ir sarkano asins šūnu proteīns, kas apgādā organismu ar skābekli), tromboze (trombi asinsvados), pancitopēnija (zems asins šūnu līmenis) un tumšs urīns (liels hemoglobīna daudzums tiek izvadīts urīnā).

PNH ir reti sastopama slimība, un 2020. gada 4. jūnijā *Fabhalta* tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss. Sīkāka informācija par retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodamā [EMA tīmekļa vietnē](#).

*Fabhalta* satur aktīvo vielu iptakopānu.

### Kā lieto *Fabhalta*?

*Fabhalta* ir pieejamas iekšķīgi lietojamu kapsulu veidā divreiz dienā. Ja viena vai vairākas devas nav ievadītas, zāles jālieto pēc iespējas drīz. Ja ir izlaistas vairākas devas, jānovēro, vai pacientiem nerodas hemolīzes pazīmes un simptomi.

Šīs zāles var iegādāties tikai pret recepti.

Papildu informāciju par *Fabhalta* lietošanu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā vai jautāt ārstam vai farmaceitam.

### Kā *Fabhalta* darbojas?

Komplementa sistēma ir olbaltumvielu kopums, kas ir daļa no imūnsistēmas (organisma dabiskās aizsargsistēmas). Pacientiem ar PNH komplementa sistēma ir pārmērīgi aktīva un bojā paša pacienta asins šūnas.

*Fabhalta* aktīvā viela iptakopāns bloķē komplementa sistēmas proteīnu, ko dēvē par "B faktoru". Bloķējot B faktoru, *Fabhalta* neļauj komplementa sistēmai bojāt šūnas, īpaši sarkanās asins šūnas, tādējādi palīdzot atvieglot slimības simptomus.

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## Kādi *Fabhalta* ieguvumi atklāti pētījumos?

Vienā pamatpētījumā, iesaistot 97 pacientus ar PNH, tika pierādīts, ka *Fabhalta* efektīvi paaugstina hemoglobīna līmeni un samazina vajadzību pēc asins pārliešanas.

Pētījumā iesaistītie pacienti iepriekš bija ārstēti ar ravulizumabu vai ekulizumabu (citām zālēm PNH ārstēšanai) vismaz sešus mēnešus un viņiem joprojām bija anēmija. Pacienti lietoja *Fabhalta* vai turpināja ārstēšanu ar ravulizumabu vai ekulizumabu.

Pēc 24 ārstēšanas nedēļām to pacientu procentuālā daļa, kuri sasniedza hemoglobīna līmeņa pieaugumu par vismaz 2 g/dL bez asins pārliešanas, bija aptuveni 82 % pacientiem, kuri lietoja *Fabhalta*, salīdzinot ar 2 % pacientu, kuri turpināja lietot ravulizumabu vai ekulizumabu. Aptuveni 69 % pacientu, kuri lietoja *Fabhalta*, hemoglobīna līmenis bez asins pārliešanas sasniedza vismaz 12 g/dL, salīdzinot ar aptuveni 2 % pacientu, kuri lietoja ravulizumabu vai ekulizumabu.

Papildu pētījuma dati atbalstīja *Fabhalta* lietošanu pacientiem ar PNH, kuri iepriekš nebija ārstēti.

## Kāds risks pastāv, lietojot *Fabhalta*?

Pilnu visu ziņoto blakusparādību un ierobežojumu sarakstu, lietojot *Fabhalta*, skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Visbiežākās *Fabhalta* blakusparādības (kas var rasties vairāk nekā 1 no 10 cilvēkiem) ir augšējo elpceļu (deguna un rīkles) infekcija, galvassāpes un caureja. Klīniskajos pētījumos visbiežāk novērotā nopietnā blakusparādība bija urīnceļu infekcija.

Nemot vērā *Fabhalta* iedarbību, tas var palielināt infekciju risku. *Fabhalta* nedrīkst lietot pacientiem, kuriem ir pastāvīga infekcija, ko izraisa tā sauktās iekapsulētās baktērijas, tostarp *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* un *Haemophilus influenzae* B tipa baktērijas. Tās nedrīkst lietot arī pacientiem, kuri pašlaik nav vakcināti pret *N. meningitidis* un *S. pneumoniae*, ja vien ārstēšanas aizkavēšanās risks neatsver šo baktēriju infekcijas attīstības risku.

## Kāpēc *Fabhalta* ir reģistrētas ES?

Tika pierādīts, ka *Fabhalta* efektīvi palielina hemoglobīna līmeni un samazina vajadzību pēc asins pārliešanas pacientiem ar PNH. Visbiežākās blakusparādības tiek uzskatītas par traucējošām, bet nav paredzams, ka tās varētu radīt risku pacientiem. Tādēļ Eiropas Zāļu aģentūra nolēma, ka ieguvums, lietojot *Fabhalta*, pārsniedz šo zāļu radīto risku un zāles var reģistrēt lietošanai ES.

## Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Fabhalta* lietošanu?

Uzņēmums, kas piedāvā tirgū *Fabhalta*, nodrošinās ārstam un pacientiem izglītojošus materiālus par iekapsulētu baktēriju izraisītu infekciju risku un smagas hemolīzes risku pēc ārstēšanas pārtraukšanas.

Zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti arī ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Fabhalta* lietošanu.

Tāpat kā par visām zālēm, dati par *Fabhalta* lietošanu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Ziņotās ar *Fabhalta* lietošanu saistītās iespējamās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai nepieciešamie pasākumi.

## **Cita informācija par *Fabhalta***

Sīkāka informācija par *Fabhalta* ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē:

[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/fabhalta](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/fabhalta)