



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Fabhalta (*iptacopan*)

Een overzicht van Fabhalta en waarom het is geregistreerd in de EU

Wat is Fabhalta en wanneer wordt het voorgeschreven?

Fabhalta is een geneesmiddel dat wordt gebruikt bij volwassenen met paroxismale nachtelijke hemoglobinurie (PNH) voor de behandeling van hemolytische anemie.

PNH is een ziekte waarbij de overmatige afbraak van bloedcellen leidt tot anemie (laag gehalte aan hemoglobine, het eiwit in rode bloedcellen dat zuurstof door het lichaam transporteert), trombose (bloedstolsels in bloedvaten), pancytopenie (laag aantal bloedcellen) en donkere urine (door de afgifte van grote hoeveelheden hemoglobine).

PNH is zeldzaam, en Fabhalta werd op 4 juni 2020 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel is te vinden op de [website](#) van het Europees Geneesmiddelenbureau.

Fabhalta bevat de werkzame stof iptacopan.

Hoe wordt Fabhalta gebruikt?

Fabhalta is verkrijgbaar in de vorm van capsules die tweemaal daags via de mond moeten worden ingenomen. Als een of meer doses zijn overgeslagen, moet het geneesmiddel zo snel mogelijk worden ingenomen. Als meerdere doses zijn overgeslagen, moeten patiënten worden gecontroleerd op tekenen en symptomen van hemolyse.

Dit geneesmiddel is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar.

Raadpleeg de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Fabhalta.

Hoe werkt Fabhalta?

Het immuunsysteem (de natuurlijke afweer van het lichaam) bestaat onder meer uit een reeks eiwitten die het complementsysteem vormen. Bij patiënten met PNH is het complementsysteem overactief en beschadigt het de eigen bloedcellen van de patiënt.

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



De werkzame stof in Fabhalta, iptacopan, blokkeert een eiwit van het complementsysteem genaamd 'factor B'. Door factor B te blokkeren voorkomt Fabhalta dat het complementsysteem cellen, met name rode bloedcellen, beschadigt. Zo helpt het middel de symptomen van de ziekte te verlichten.

Welke voordelen bleek Fabhalta tijdens de studies te hebben?

In één hoofdstudie onder 97 patiënten met PNH bleek Fabhalta werkzaam te zijn bij het verhogen van het hemoglobinegehalte en het verminderen van de behoefte aan bloedtransfusies.

De patiënten in de studie waren eerder ten minste zes maanden behandeld met ravulizumab of eculizumab (andere geneesmiddelen voor PNH) en hadden nog steeds anemie. De patiënten kregen Fabhalta toegediend of zetten hun behandeling met ravulizumab of eculizumab voort.

Na 24 weken behandeling was het percentage patiënten bij wie zonder bloedtransfusies een verhoging van het hemoglobinegehalte van ten minste 2 g/dl werd bereikt ongeveer 82 % bij de patiënten die Fabhalta toegediend kregen, ten opzichte van 2 % bij de patiënten die ravulizumab of eculizumab bleven gebruiken. Bij ongeveer 69 % van de patiënten die Fabhalta innamen, werd zonder bloedtransfusies een hemoglobinegehalte van ten minste 12 g/dl bereikt, tegenover ongeveer 2 % van de patiënten die ravulizumab of eculizumab innamen.

Gegevens uit een aanvullende studie ondersteunden het gebruik van Fabhalta bij patiënten met PNH die niet eerder waren behandeld.

Welke risico's houdt het gebruik van Fabhalta in?

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van de bijwerkingen van en beperkende voorwaarden voor Fabhalta.

De meest voorkomende bijwerkingen van Fabhalta (die bij meer dan 1 op de 10 personen kunnen optreden) zijn infecties van de bovenste luchtwegen (neus en keel), hoofdpijn en diarree. In de klinische studies was de meest voorkomende ernstige bijwerking urineweginfectie.

Als gevolg van het werkingsmechanisme van Fabhalta kan het risico op infecties toenemen. Fabhalta mag niet worden gebruikt door patiënten met een aanhoudende infectie veroorzaakt door zogenaamde ingekapselde bacteriën, waaronder *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* en *Haemophilus influenzae* type B. Het mag evenmin worden gebruikt door patiënten die momenteel niet zijn gevaccineerd tegen *N. meningitidis* en *S. pneumoniae*, tenzij het risico door uitstel van de behandeling groter is dan het risico als gevolg van het ontstaan van een infectie met deze bacteriën.

Waarom is Fabhalta geregistreerd in de EU?

Fabhalta bleek werkzaam te zijn bij het verhogen van het hemoglobinegehalte en het verminderen van de behoefte aan bloedtransfusies bij patiënten met PNH. De meest voorkomende bijwerkingen worden als hinderlijk beschouwd, maar zullen naar verwachting geen risico vormen voor patiënten. Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft daarom geconcludeerd dat de voordelen van Fabhalta groter zijn dan de risico's en dat dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Fabhalta te waarborgen?

Het bedrijf dat Fabhalta in de handel brengt, zal aan artsen en patiënten voorlichtingsmateriaal verstrekken met informatie over het risico op infecties veroorzaakt door ingekapselde bacteriën en ernstige hemolyse na beëindiging van de behandeling.

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Fabhalta zijn ook opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Fabhalta continu gevolgd. Vermoedelijke bijwerkingen waargenomen voor Fabhalta worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig worden maatregelen getroffen om patiënten te beschermen.

Overige informatie over Fabhalta

Meer informatie over Fabhalta is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/fabhalta