



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Fabhalta (*iptacopan*)

Prezentare generală a Fabhalta și motivele autorizării medicamentului în UE

### Ce este Fabhalta și pentru ce se utilizează?

Fabhalta este un medicament utilizat la adulți cu hemoglobinurie paroxistică nocturnă (HPN) pentru tratarea anemiei hemolitice.

HPN este o boală în care descompunerea excesivă a celulelor sanguine duce la anemie (valori mici de hemoglobină, proteina din globulele roșii care transportă oxigenul în corp), tromboză (cheaguri în vasele de sânge), pancitopenie (număr mic de celule sanguine) și urină închisă la culoare (din cauza eliberării unei cantități mari de hemoglobină în urină).

HPN este rar, iar Fabhalta a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament utilizat în boli rare) la 4 iunie 2020. Mai multe informații despre medicamentele desemnate orfane se pot găsi pe [site-ul EMA](#).

Fabhalta conține substanța activă iptacopan.

### Cum se utilizează Fabhalta?

Fabhalta este disponibil sub formă de capsule care se administrează pe cale orală de două ori pe zi. Dacă se omit una sau mai multe doze, medicamentul trebuie luat cât mai curând. Dacă se omit mai multe doze, pacienții trebuie monitorizați pentru depistarea semnelor și simptomelor de hemoliză.

Medicamentul se poate obține numai pe bază de prescripție medicală.

Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Fabhalta, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

### Cum acționează Fabhalta?

Sistemul complement este un set de proteine care fac parte din sistemul imunitar (mecanismul natural de apărare al organismului). La pacienții cu HPN, sistemul complement este hiperactiv și afectează celulele sanguine ale pacienților.

Substanța activă din Fabhalta, iptacopanul, blochează o proteină a sistemului complement numită „factor B”. Prin blocarea factorului B, Fabhalta împiedică sistemul complement să afecteze celulele, în special globulele roșii, contribuind astfel la ameliorarea simptomelor bolii.

---

**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



## Ce beneficii a prezentat Fabhalta pe parcursul studiilor?

Într-un studiu principal care a cuprins 97 de pacienți cu HPN, Fabhalta s-a dovedit eficace în mărirea valorilor hemoglobinei și reducerea nevoii de transfuzii de sânge.

Pacienții din studiu fuseseră tratați anterior cu ravulizumab sau eculizumab (alte medicamente pentru HPN) cel puțin 6 luni și încă mai aveau anemie. Pacienții fie au luat Fabhalta, fie au continuat tratamentul cu ravulizumab sau eculizumab.

După 24 de săptămâni de tratament, procentul de pacienți care au obținut o creștere a valorilor hemoglobinei de cel puțin 2 g/dl fără transfuzii de sânge a fost de aproximativ 82 % în cazul pacienților care au primit Fabhalta, față de 2 % în cazul pacienților care au continuat tratamentul cu ravulizumab sau eculizumab. Aproximativ 69 % din pacienții care au luat Fabhalta au obținut valori ale hemoglobinei de cel puțin 12 g/dl fără transfuzii de sânge, față de aproximativ 2 % din pacienții care au luat ravulizumab sau eculizumab.

Datele dintr-un studiu suplimentar au susținut utilizarea Fabhalta la pacienții cu HPN care nu fuseseră tratați anterior.

## Care sunt riscurile asociate cu Fabhalta?

Pentru lista completă a reacțiilor adverse și a restricțiilor asociate cu Fabhalta, citiți prospectul.

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Fabhalta (care pot afecta mai mult de 1 persoană din 10) sunt infecții ale căilor respiratorii superioare (nas și gât), dureri de cap și diaree. În studiile clinice, cea mai frecventă reacție adversă gravă a fost infecția căilor urinare.

Pe baza modului în care acționează, Fabhalta poate mări riscul de infecții. Fabhalta este contraindicat la pacienții care au o infecție activă cauzată de așa-numitele bacterii încapsulate, și anume *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* și *Haemophilus influenzae* tip B. De asemenea, este contraindicat la pacienții care nu sunt vaccinați în prezent împotriva *N. meningitidis* și *S. pneumoniae*, cu excepția cazului în care riscul de amânare a tratamentului depășește riscul de apariție a unei infecții cauzate de aceste bacterii.

## De ce a fost autorizat Fabhalta în UE?

Fabhalta s-a dovedit eficace în mărirea valorilor hemoglobinei și în reducerea nevoii de transfuzii de sânge la pacienții cu HPN. Cele mai frecvente reacții adverse sunt considerate neplăcute, dar este puțin probabil să prezinte un risc pentru pacienți. Prin urmare, Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Fabhalta sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

## Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Fabhalta?

Compania care comercializează Fabhalta va furniza medicilor și pacienților materiale educaționale privind riscul de infecții cauzate de bacteriile încapsulate și de hemoliza gravă după terminarea tratamentului.

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse, de asemenea, recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Fabhalta, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Fabhalta sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse suspectate raportate pentru Fabhalta sunt evaluate cu atenție și sunt luate toate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

### **Alte informații despre Fabhalta**

Mai multe informații despre Fabhalta se pot găsi pe site-ul agenției:  
[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/fabhalta](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/fabhalta).