



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Fabhalta (*iptakopan*)

Prehľad o lieku Fabhalta a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Fabhalta a na čo sa používa?

Fabhalta je liek, ktorý sa používa u dospelých s paroxyzmálnou nočnou hemoglobínúriou (PNH) na liečbu hemolytickej anémie.

Paroxyzmálna nočná hemoglobínúria je ochorenie, pri ktorom nadmerný rozpad krviniek vedie k anémii (nízkej hladine hemoglobínu, proteínu v červených krvinkách, ktorý prenáša kyslík v tele), trombóze (krvným zrazeninám v krvných cievach), pancytopénii (nízkej hladine krviniek) a tmavému moču (v dôsledku veľkého množstva hemoglobínu uvoľneného do moču).

PNH je zriedkavé ochorenie, a preto bol liek Fabhalta 4. júna 2020 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia. Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia sa nachádzajú na [webovej stránke EMA](#).

Liek Fabhalta obsahuje liečivo iptakopan.

Ako sa liek Fabhalta používa?

Liek Fabhalta je dostupný vo forme kapsúl, ktoré sa užívajú ústami dvakrát denne. Ak sa vynechá jedna alebo viac dávok, liek sa má užiť čo najskôr. V prípade vynechania viacerých dávok je potrebné pacientov sledovať na príznaky a symptómy hemolýzy.

Výdaj lieku je viazaný na lekársky predpis.

Viac informácií o používaní lieku Fabhalta si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárnika.

Akým spôsobom liek Fabhalta účinkuje?

Komplementový systém je súbor proteínov, ktoré sú súčasťou imunitného systému (prirodzenej obrany tela). U pacientov s paroxyzmálnou nočnou hemoglobínúriou je komplementový systém nadmerne aktívny a poškodzuje vlastné krvinky pacienta.

Liečivo lieku Fabhalta, iptakopan, blokuje proteín komplementového systému, ktorý sa nazýva faktor B. Zablokovaním faktora B liek Fabhalta bráni komplementovému systému poškodzovať bunky, najmä červené krvinky, čo pomáha zmierniť symptómy ochorenia.

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



Aké prínosy lieku Fabhalta boli preukázané v štúdiách?

V jednej hlavnej štúdii, na ktorej sa zúčastnilo 97 pacientov s PNH, sa preukázalo sa, že liek Fabhalta je účinný pri zvyšovaní hladiny hemoglobínu a znižovaní potreby krvných transfúzií.

Pacienti v štúdii boli v minulosti aspoň 6 mesiacov liečení ravulizumabom alebo ekulizumabom (inými liekmi na PNH) a ešte stále mali anémiu. Pacienti užívali buď liek Fabhalta, alebo pokračovali v liečbe ravulizumabom alebo ekulizumabom.

Po 24 týždňoch liečby bol percentuálny podiel pacientov, ktorí dosiahli zvýšenie hladiny hemoglobínu aspoň o 2 g/dL bez krvných transfúzií, približne 82 % u pacientov liečených liekom Fabhalta v porovnaní s 2 % pacientov, ktorí pokračovali v užívaní ravulizumabu alebo ekulizumabu. Približne 69 % pacientov užívajúcich liek Fabhalta dosiahlo hladinu hemoglobínu najmenej 12 g/dl bez krvných transfúzií v porovnaní s približne 2 % pacientov užívajúcich ravulizumab alebo ekulizumab.

Údaje z ďalšej štúdie podporili použitie lieku Fabhalta u pacientov s paroxyzmálnou nočnou hemoglobínúriou, ktorí v minulosti neboli liečení.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Fabhalta?

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Fabhalta a zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Fabhalta (ktoré môžu postihnúť viac ako 1 osobu z 10) sú infekcia horných dýchacích ciest (nosa a hrdla), bolesť hlavy a hnačka. Najčastejším závažným vedľajším účinkom v klinických štúdiách bola infekcia močových ciest.

Liek Fabhalta môže zvýšiť riziko infekcie vzhľadom na spôsob, akým účinkuje. Liek Fabhalta nesmú používať pacienti, ktorí majú prebiehajúcu infekciu spôsobenú tzv. opuzdrenými baktériami vrátane baktérie *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* a *Haemophilus influenzae* typu B. Takisto ho nesmú používať pacienti, ktorí nie sú v súčasnosti zaočkovaní proti baktérii *N. meningitidis* a *S. pneumoniae*, pokiaľ riziko oddiaľovania liečby neprevyšuje riziko vzniku infekcie spôsobenej týmito baktériami.

Prečo bol liek Fabhalta povolený v EÚ?

Preukázalo sa, že liek Fabhalta je účinný pri zvyšovaní hladiny hemoglobínu a znižovaní potreby krvných transfúzií u pacientov s PNH. Najčastejšie vedľajšie účinky sa považujú za nepríhodné, ale neočakáva sa, že by predstavovali riziko pre pacientov. Európska agentúra pre lieky preto rozhodla, že prínosy lieku Fabhalta sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a že liek môže byť povolený na používanie v EÚ.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Fabhalta?

Spoločnosť, ktorá uvádza liek Fabhalta na trh, poskytne lekárovi a pacientom vzdelávacie materiály o riziku infekcií spôsobených opuzdrenými baktériami a závažnej hemolýze po ukončení liečby.

Na bezpečné a účinné používanie lieku Fabhalta boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté aj odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Fabhalta sa neustále kontrolujú. Podozrenia na vedľajšie účinky hlásené pri lieku Fabhalta sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Fabhalta

Ďalšie informácie o lieku Fabhalta sa nachádzajú na webovej stránke agentúry:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/fabhalta