

Rapport succinct d'autorisation du 09.02.2026

Fabhalta® (principe actif : iptacopan)

Extension des indications en Suisse : 25.09.2025

Gélules pour le traitement des patients adultes atteints de glomérulopathie à dépôts de C3 (GC3)

À propos du médicament

Le principe actif de Fabhalta est l'iptacopan (sous forme de chlorhydrate d'iptacopan monohydraté).

Dans le cadre de la présente extension d'indication, Fabhalta peut être utilisé chez les adultes atteints de glomérulopathie à dépôts de C3 (GC3), en association avec un inhibiteur du système rénine-angiotensine (SRA) ou en monothérapie si un tel inhibiteur n'est pas approprié.

La GC3 est une maladie rénale rare dans laquelle les reins sont endommagés par des dépôts de protéines, ce qui entraîne des lésions rénales.

La GC3 étant une maladie très rare dont l'évolution peut être grave, la présente extension d'indication de Fabhalta a été approuvée en tant que médicament orphelin (médicament pour des maladies rares).

Fabhalta a d'abord été autorisé par Swissmedic le 29 août 2024 pour le traitement des adultes souffrant d'hémoglobinurie paroxysmique nocturne (HPN) et ayant répondu de manière insuffisante à un traitement d'au moins six mois par un inhibiteur de C5.

Action

Le principe actif iptacopan contenu dans Fabhalta se lie à une protéine spécifique du système du complément¹, appelée facteur B, et inhibe ainsi une voie d'activation particulière du système immunitaire. Chez les patients atteints de GC3, cette partie du système immunitaire est hyperactive, ce qui

provoque des inflammations et des lésions rénales. En bloquant le facteur B, Fabhalta réduit l'activation pathologique du complément. De cette manière, la quantité de produits du complément se déposant dans les reins diminue, et l'inflammation est réduite, ce qui protège les reins de nouvelles lésions.

¹ Le système du complément est une partie du système immunitaire qui aide à reconnaître et à combattre les agents pathogènes. S'il est mal régulé, il peut attaquer les tissus de l'organisme.

Administration

Fabhalta est soumis à ordonnance.

Fabhalta est disponible sous forme de gélules. Chaque gélule contient 200 mg d'ip-tacopan (sous forme de chlorhydrate d'ip-tacopan monohydraté).

La dose recommandée est de 200 mg (une gélule) deux fois par jour (dose totale de 400 mg par jour).

Les gélules doivent être avalées entières et peuvent être prises pendant ou en dehors des repas.

Pour le traitement de la GC3, Fabhalta est généralement utilisé en complément d'un traitement existant par un inhibiteur du SRA (dans la mesure où cela est toléré).

Efficacité

L'efficacité de Fabhalta a été évaluée dans une étude (APPEAR-C3G) sur 74 patients adultes atteints de GC3 qui continuaient à présenter un excès de protéines dans les urines lié à la pathologie malgré un traitement par un inhibiteur du SRA.

Les patients ont été répartis en deux groupes : l'un a reçu 200 mg de Fabhalta deux fois par jour, l'autre un médicament factice (placebo).

Au bout de six mois, le traitement par Fabhalta a présenté une réduction moyenne de

la présence de protéines dans les urines d'environ 30 % alors qu'elle augmentait légèrement sous placebo. De plus, la fonction rénale est restée stable sous Fabhalta. Ces résultats étaient significativement meilleurs que ceux du groupe témoin.

Fabhalta n'ayant pas fait l'objet d'une étude chez les jeunes de moins de 18 ans, il n'existe pas de données relatives à l'efficacité pour ce groupe d'âge.

Précautions, effets indésirables et risques

Fabhalta ne doit pas être utilisé en cas d'hypersensibilité au principe actif ou à l'un des excipients.

Les effets indésirables les plus fréquents (observés chez plus d'un patient sur dix) sont des infections des voies aériennes supérieures, des maux de tête, des diarrhées et des douleurs dans le bas du ventre.

Étant donné que Fabhalta intervient dans le système immunitaire, il peut augmenter le

risque de certaines infections graves, notamment celles causées par des bactéries encapsulées comme *Neisseria meningitidis* et *Streptococcus pneumoniae*. Pour se protéger, les patients doivent être vaccinés en conséquence avant le début du traitement.

Toutes les précautions applicables ainsi que les risques et les autres effets indésirables possibles sont énumérés dans l'information destinée aux patients (notice d'emballage) ainsi que dans l'information professionnelle.

Justification de la décision d'autorisation

Les patients atteints de GC3 ne disposaient jusqu'à présent d'aucun traitement autorisé. Cette maladie est rare, touche souvent des personnes jeunes et peut entraîner une insuffisance rénale en quelques années.

Fabhalta agit de manière ciblée sur l'hyperractivation du système du complément, le mécanisme central de cette pathologie. Au

cours de l'étude, Fabhalta a permis de réduire considérablement la présence de protéines dans les urines et de maintenir la stabilité de la fonction rénale.

Au vu des données disponibles, et lorsque tous les risques et l'ensemble des mesures de précaution à respecter sont pris en considération, les bénéfices offerts par Fabhalta sont supérieurs aux risques.

Swissmedic a donc autorisé en Suisse le médicament Fabhalta, dont le principe actif est l'iptacopan, pour le traitement des patients adultes atteints de GC3, en association avec un inhibiteur du SRA ou lorsqu'il n'est pas possible de recourir à un tel inhibiteur.

Informations complémentaires sur le médicament

Information pour les personnes exerçant une profession médicale : [information professionnelle de Fabhalta®](#)

Information destinée aux patients (notice d'emballage) : [information destinée aux patients de Fabhalta®](#)

Les professionnels de santé sont là pour répondre à toute autre question.

Les présentes informations sont basées sur les informations disponibles à la date de publication du SwissPAR. Les nouvelles connaissances concernant le médicament autorisé ne sont pas intégrées dans le rapport succinct d'autorisation.

Les médicaments autorisés en Suisse sont sous la surveillance de Swissmedic. Swissmedic prendra les mesures qui s'imposent en cas de constatation de nouveaux effets indésirables ou en présence d'autres signaux de sécurité. De plus, Swissmedic recensera et publiera toute nouvelle connaissance susceptible d'affecter la qualité, l'efficacité ou la sécurité d'emploi de ce médicament. Au besoin, l'information sur le médicament sera adaptée.