

Rapporto sintetico di omologazione del 28.02.2025

Fabhalta® (principio attivo: iptacopan)

Omologazione in Svizzera: 29.08.2024

Capsula rigida per il trattamento di pazienti adulte/i affette/i da emoglobinuria parossistica notturna (EPN).

Informazioni sul medicamento

Fabhalta contiene il principio attivo iptacopan (sotto forma di iptacopan cloridrato monoidrato).

Fabhalta è utilizzato per trattare pazienti adulte/i affette/i da emoglobinuria parossistica notturna (EPN) che hanno avuto una risposta insufficiente a un trattamento di almeno 6 mesi con un altro tipo di medicamento contro l'EPN chiamato inibitore di C5. Fabhalta è somministrato come monoterapia (ossia come unico medicamento).

In pazienti con EPN, il sistema di difesa dell'organismo (sistema del complemento) si attiva in modo eccessivo e attacca i propri globuli rossi. Questo può provocare anemia, stanchezza, limitazione funzionale, dolore addominale, urine scure, fiato corto, disturbi della deglutizione, disfunzione erettile e formazione di coaguli di sangue.

Poiché l'EPN è una malattia rara potenzialmente letale, il medicamento Fabhalta è stato omologato come medicamento orfano. Sono definiti «orfani» i medicinali importanti per malattie rare.

Meccanismo d'azione

Il principio attivo di Fabhalta, l'iptacopan, si lega a una proteina specifica chiamata fattore B e blocca il sistema del complemento

che attacca i globuli rossi. Fabhalta aumenta il numero dei globuli rossi (riduce l'anemia) e controlla l'EPN.

Impiego

Fabhalta è soggetto all'obbligo di prescrizione medica.

Fabhalta è disponibile sotto forma di capsule rigide; ogni capsula contiene 200 mg di iptacopan (sotto forma di iptacopan cloridrato monoidrato)

La dose raccomandata è di 200 mg (una capsula) da assumere due volte al giorno (dose totale di 400 mg al giorno).

Le capsule devono essere ingerite intere, indipendentemente dai pasti.

Efficacia

L'efficacia di Fabhalta è stata valutata in uno studio (APPLY-PNH) con 97 persone adulte affette da EPN, che hanno avuto una risposta insufficiente a un trattamento di almeno 6 mesi con un inibitore di C5.

Le pazienti e i pazienti sono stati suddivisi in due gruppi: a un gruppo sono stati somministrati 200 mg di Fabhalta due volte al giorno, mentre l'altro gruppo ha continuato il trattamento con l'inibitore di C5.

Dopo 24 settimane, il trattamento con Fabhalta ha mostrato, nell'82,3% dei casi, un aumento persistente dei valori di emoglobina¹ di ≥ 2 g/dl rispetto al basale e, nel 68,8% dei casi, valori di emoglobina stabili di ≥ 12 g/dl, senza la necessità di effettuare una trasfusione di sangue. Questi risultati si sono dimostrati significativamente migliori rispetto al gruppo di controllo, senza la somministrazione di Fabhalta.

Misure precauzionali, effetti indesiderati e rischi

Fabhalta non deve essere usato in caso di ipersensibilità al principio attivo o a una qualsiasi sostanza ausiliaria.

Gli effetti indesiderati più comuni (riguardano più di 1 paziente su 10) sono infezioni delle vie respiratorie superiori (25,5%), cefalea (18,1%), dolori al basso ventre (12,8%) e diarrea (10,1%).

Poiché esiste il rischio di infezioni gravi, le persone che assumono Fabhalta dovrebbero

essere vaccinate contro i batteri come *Neisseria meningitidis* e *Streptococcus pneumoniae*.

Tutte le misure precauzionali, i rischi e altri possibili effetti indesiderati sono elencati nell'informazione destinata alle/ai pazienti (foglietto illustrativo) e nell'informazione professionale.

Motivazione della decisione di omologazione

Attualmente esistono opzioni terapeutiche limitate per le persone affette da emoglobinuria parossistica notturna (EPN), che continuano a soffrire di emolisi nonostante il trattamento con inibitori di C5. Lo studio descritto ha mostrato che Fabhalta comporta per queste/i pazienti un miglioramento significativo dei valori di emoglobina e la riduzione della necessità di effettuare trasfusioni.

Tenendo conto di tutti i rischi e di tutte le misure precauzionali, e sulla base dei dati disponibili, i benefici di Fabhalta superano i rischi.

Swissmedic ha pertanto omologato in Svizzera il medicamento Fabhalta, che contiene il principio attivo iptacopan, per il trattamento di emoglobinuria parossistica notturna (EPN) in pazienti adulte/i che hanno avuto una risposta insufficiente a un trattamento di almeno 6 mesi con un inibitore di C5.

¹ Valore dell'emoglobina: l'emoglobina è una proteina presente nei globuli rossi, responsabile del trasporto di ossigeno nel sangue. Il valore dell'emoglobina indica quanta emoglobina è presente nel sangue e si misura in grammi per decilitro

(g/dl). Un valore normale di emoglobina in persone adulte si attesta tra 12 e 16 g/dl per le donne e tra 14 e 18 g/dl per gli uomini.

Maggiori informazioni sul medicamento

Informazione per il personale medico-sanitario: [informazione professionale di Fabhalta®](#)

Informazione destinata alle/ai pazienti (foglietto illustrativo): [informazione destinata alle/ai pazienti di Fabhalta®](#)

Per altre domande, rivolgersi alle/ai professioniste/i della salute.

Lo stato di questa informazione corrisponde a quello dello SwissPAR. Le nuove conoscenze acquisite sul medicamento omologato non sono incluse nel Rapporto sintetico di omologazione.

I medicinali omologati in Svizzera sono monitorati da Swissmedic. In caso di nuovi effetti indesiderati riscontrati o di altri segnali rilevanti per la sicurezza, Swissmedic adotterà le misure necessarie. Swissmedic si occuperà di registrare e pubblicare qualsiasi nuova conoscenza acquisita concernente aspetti che potrebbero compromettere la qualità, l'efficacia o la sicurezza di questo medicamento. Se necessario, l'informazione sul medicamento sarà modificata.