

Rapport succinct d'autorisation du 28.02.2025

Fabhalta® (principe actif : iptacopan)

Autorisation en Suisse : 29.08.2024

Gélules utilisées en monothérapie pour le traitement des adultes atteints d'hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN)

À propos du médicament

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

Fabhalta est indiqué pour le traitement de l'hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN) chez les adultes qui ont répondu de manière insuffisante à un traitement d'une durée d'au moins 6 mois par un autre médicament contre l'HPN appelé inhibiteur de C5. Fabhalta est administré en monothérapie (seul).

Chez les patients atteints d'HPN, le système de défense de l'organisme (système du complément) est hyperactif et attaque les

globules rouges. Cela peut entraîner une diminution du nombre de globules rouges (anémie), de la fatigue, des limitations fonctionnelles, des douleurs abdominales, une coloration sombre de l'urine, un essoufflement, des difficultés à avaler, des troubles de l'érection et la formation de caillots sanguins.

L'HPN étant une maladie rare grave qui peut mettre en jeu le pronostic vital, le médicament Fabhalta a été autorisé en tant que médicament orphelin (*orphan drug*). Les médicaments orphelins sont des médicaments importants contre des maladies rares.

Action

L'iptacopan, qui est le principe actif de Fabhalta, se lie à une certaine protéine appelée

facteur B et bloque le système du complément qui attaque les globules rouges. Fabhalta augmente le nombre de globules rouges (diminue l'anémie) et contrôle l'HPN.

Administration

Fabhalta est soumis à ordonnance.

Fabhalta est disponible sous forme de gélules. Chaque gélule contient 200 mg d'iptacopan (sous forme de chlorhydrate d'iptacopan 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.

Efficacité

L'efficacité de Fabhalta a été évaluée dans le cadre d'une étude (APPLY-PNH) menée sur 97 patients adultes atteints d'une HPN qui ont répondu de manière insuffisante à un traitement d'une durée d'au moins 6 mois par un inhibiteur de C5.

Les patients ont été répartis en deux groupes : un groupe a reçu 200 mg de Fabhalta deux fois par jour et l'autre groupe a poursuivi son traitement par un inhibiteur de C5.

Après 24 semaines de traitement par Fabhalta, une augmentation persistante du taux d'hémoglobine¹ ≥ 2 g/dl par rapport à la valeur initiale a été observée dans 82,3 % des cas et un taux d'hémoglobine stabilisé ≥ 12 g/dl a été observé dans 68,8 % des cas, sans nécessité de transfusion sanguine. Les résultats étaient considérablement meilleurs que ceux du groupe témoin n'ayant pas pris Fabhalta.

Précautions, effets indésirables et risques

Fabhalta ne doit pas être utilisé en cas d'hy-persensibilité 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 (25,5 %), des maux de tête (18,1 %), des douleurs dans le bas du ventre (12,8 %) et des diarrhées (10,1 %).

Compte tenu du risque d'infections sévères, les patients qui prennent Fabhalta doivent être vaccinés contre des bactéries telles que *Neisseria meningitidis* et *Streptococcus pneumoniae*.

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 options thérapeutiques disponibles à ce jour pour les patients atteints d'une hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN) qui souffrent toujours d'hémolyse malgré un traitement par inhibiteurs de C5 sont limitées. Dans le cadre de l'étude susmentionnée, Fabhalta a permis une amélioration significative des taux d'hémoglobine et une réduction de la nécessité de transfusion chez ces patients.

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 de l'hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN) chez les adultes qui ont répondu de manière

¹ Taux d'hémoglobine : l'hémoglobine est une protéine qui se trouve dans les globules rouges. Elle est responsable du transport de l'oxygène dans le sang. Le taux d'hémoglobine indique la quantité d'hémoglobine présente dans le sang. Il

est mesuré en grammes par décilitre (g/dl). Dans la population adulte, un taux d'hémoglobine normal est compris entre 12 et 16 g/dl chez la femme et entre 14 et 18 g/dl chez l'homme.

insuffisante à un traitement d'une durée d'au moins 6 mois par un inhibiteur de C5.

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'avoir un impact sur la qualité, l'efficacité ou la sécurité d'emploi de ce médicament. Au besoin, l'information sur le médicament sera adaptée.