



Informe público sobre la decisión de inclusión en la prestación farmacéutica de iptacopán (Fabhalta®) como monoterapia en el tratamiento de pacientes adultos con hemoglobinuria paroxística nocturna (HPN) que presentan anemia hemolítica.

Fecha de publicación: 21 de julio de 2025

¿Qué es iptacopán y para qué se utiliza?

Fabhalta® es un medicamento que contiene como principio activo iptacopán, un inhibidor del complemento, indicado como monoterapia para el tratamiento de pacientes adultos con hemoglobinuria paroxística nocturna (HPN) que presentan anemia hemolítica.

La HPN es una enfermedad hematológica rara, adquirida y potencialmente mortal en la que la destrucción excesiva de los glóbulos rojos provoca anemia (niveles bajos de hemoglobina, la proteína de los glóbulos rojos que transporta oxígeno por el cuerpo), trombosis (coágulos sanguíneos en los vasos), pancitopenia (niveles bajos de todas las células sanguíneas) y orina oscura (debido a la liberación de grandes cantidades de hemoglobina en la orina). Tiene un impacto significativo en la calidad de vida de los pacientes.

El titular de la autorización de comercialización en la Unión Europea es Novartis Europharm Limited. En España, el laboratorio ofertante es NOVARTIS FARMACEUTICA S.A.

¿Cómo funciona iptacopán?

El principio activo de Fabhalta®, iptacopán, se dirige a una proteína denominada Factor B, que interviene en una parte del sistema inmunitario del organismo denominada "sistema del complemento". En los pacientes con HPN, el sistema del complemento tiene su actividad aumentada, causando la ruptura y destrucción de los glóbulos rojos, lo que puede provocar anemia, cansancio, dificultad para realizar tareas cotidianas, dolor, dolor de estómago (abdomen), orina oscura, dificultad para respirar, dificultad para tragar, impotencia y coágulos sanguíneos. Al unirse y bloquear la proteína del Factor B, iptacopán puede impedir que el sistema del complemento ataque a los glóbulos rojos.

Información básica sobre la autorización

Fabhalta® (iptacopán) está autorizado por un procedimiento centralizado, es decir, tiene una autorización válida concedida el 17 de mayo de 2024 para toda la Unión Europea por la Comisión Europea tras la opinión favorable del Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) de la Agencia Europea de Medicamentos (EMA)¹. Fabhalta® fue designado como un «medicamento huérfano», un medicamento utilizado en enfermedades raras.

La dosis recomendada es de 200 mg por vía oral dos veces al día.

Además, iptacopán se administra por vía oral, lo que representa una mejora en la comodidad del tratamiento frente a los tratamientos inyectables actuales. Esta vía de administración puede favorecer la adherencia y reducir la carga asistencial.

¹ Puede consultar la información en el siguiente enlace:
<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/fabhalta>



Conclusiones de la evaluación comparada de Fabhalta®

La Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS) publicó un primer Informe de Posicionamiento Terapéutico (IPT) de Fabhalta® el 19 de mayo de 2025².

Los resultados de eficacia y seguridad proceden de dos estudios pivotaes, que se denominaron el estudio APPLY y el estudio APPOINT, realizados en pacientes que habían recibido un tratamiento previo con inhibidores C5 durante al menos 6 meses y en pacientes naïve, respectivamente.

En el estudio APPLY, se demostró la superioridad de la monoterapia con iptacopán frente al comparador (la terapia anti-C5, eculizumab y ravulizumab) en un período de 24 semanas en los niveles de Hb (hemoglobina), la reducción significativa de la necesidad de transfusiones de glóbulos rojos y las mejoras significativas de la fatiga informada por el paciente.

Los resultados del estudio no controlado APPOINT respaldan el uso de iptacopán en pacientes sin tratamiento previo. El efecto favorable más importante es una mejora significativa en los niveles de Hb que se aproxima a la normalización en ausencia de transfusiones de glóbulos rojos.

En pacientes que no han recibido un tratamiento previo con inhibidores de C5, en ausencia de datos comparativos sólidos frente a los tratamientos de referencia que son los inhibidores de C5 (eculizumab y ravulizumab), se considera preferente el tratamiento con estos inhibidores.

En pacientes que presenten anemia residual, a pesar de un tratamiento previo con un régimen estable de tratamiento con inhibidores de C5 (eculizumab o ravulizumab), en términos de eficacia y seguridad, iptacopán se considera una opción de tratamiento como pegcetacoplán o danicopán en combinación con inhibidores C5. No existen comparaciones directas entre danicopán en combinación con inhibidores C5 frente a pegcetacoplán o iptacopán.

Sin embargo, iptacopán puede considerarse en algunos casos un medicamento preferente frente al resto de opciones debido a la ventaja del uso en monoterapia, la vía de administración oral, y el uso de recursos, aunque se debe valorar caso por caso según el perfil clínico del paciente.

Los efectos adversos más frecuentes, pero no los únicos relacionados con iptacopán fueron infección del tracto respiratorio superior (18,9 %), cefalea (18,3 %) y diarrea (11,0 %). Se identificaron además algunos efectos adversos graves que están descritos en el IPT publicado(2).

Dado a su mecanismo de acción novedoso, se está realizando un estudio de seguridad y tolerabilidad a largo plazo y se ha planeado uno post-autorización.

² Puede consultar la información en el siguiente enlace:
<https://www.aemps.gob.es/medicamentosUsoHumano/informesPublicos/docs/2025/IPT-365-Fabhalta-iptacopan.pdf>



Decisión de la Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos

La Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos reunida en sesión de 21 de mayo de 2025 acordó proponer a la Dirección General de Cartera Común de Servicios del SNS y Farmacia la inclusión en la prestación farmacéutica del SNS de este medicamento y su financiación en monoterapia para el tratamiento de pacientes adultos con hemoglobinuria paroxística nocturna (HPN) que presentan anemia hemolítica.

Adicionalmente la financiación se restringe a pacientes que han sido tratados con una dosis estable de ravulizumab o eculizumab durante al menos los 6 meses previos, y que presentan anemia con unos valores de (Hb < 10 g/dL), y que presenten HEV (hemólisis extravascular) o de brecha a pesar de haber recibido inhibidor C5.

No se financia iptacopán en combinación con eculizumab, ni ravulizumab ni pegcetacoplán.

Información específica sobre restricciones o condiciones de financiación especiales

Se establece para este medicamento reservas singulares en el ámbito del Sistema Nacional de Salud, consistente en limitar su dispensación a los pacientes no hospitalizados en los Servicios de Farmacia de los Hospitales.

Más información

La situación de financiación de los medicamentos puede consultarse a través del buscador BIFIMED, accesible a través de la página del Ministerio de Sanidad, en el siguiente link:

<https://www.sanidad.gob.es/profesionales/medicamentos.do>

La búsqueda puede realizarse por principio activo, nombre del medicamento o código nacional.

Una vez se accede al medicamento en cuestión en el apartado "Más información" aparecen las indicaciones que están financiadas, las que no lo están, así como la fecha de alta en la financiación, entre otros.