



Informe público sobre la decisión de inclusión en la prestación farmacéutica de iptacopán (Fabhalta®)

Fecha publicación: 21 de julio del 2025

Fecha actualización: 30 de julio de 2026

¿Qué es iptacopán y para qué se utiliza?

Fabhalta® es un medicamento que contiene como principio activo iptacopán, un inhibidor proximal del complemento que se dirige al factor B (FB) para inhibir selectivamente la vía alternativa (VA) del complemento. Fabhalta® está indicado como monoterapia para el tratamiento de pacientes adultos con hemoglobinuria paroxística nocturna (HPN) que presentan anemia hemolítica, y para el tratamiento de pacientes adultos con glomerulopatía por complemento 3 (GC3) en combinación con un inhibidor del sistema renina-angiotensina (SRA), o en pacientes que no toleran los inhibidores del SRA, o para quienes un inhibidor de SRA está contraindicado.

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).

La GC3 es glomerulopatía del complemento 3 (GC3) es una enfermedad rara en la que el deterioro progresivo de los riñones les impide filtrar correctamente la sangre, lo que provoca la formación de toxinas, una reducción de la producción de orina y la hinchazón.

Ambas enfermedades tienen 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 sistema del complemento es un conjunto de proteínas que forma parte del sistema inmunitario (las defensas naturales del organismo). En pacientes con HPN y GC3, el sistema de complemento es excesivamente activo, lo que daña las propias células de los pacientes, en particular los glóbulos rojos en la HPN y las células renales en GC3.

El principio activo de Fabhalta®, iptacopán, bloquea una proteína del sistema del complemento denominada FB. Al bloquear el FB, Fabhalta® impide que el sistema de complemento dañe los glóbulos rojos en la HPN. En la GC3, la desregulación de la VA del complemento favorece el depósito glomerular de C3 y de sus productos de escisión, con inflamación y lesión renal progresiva. Al bloquear el FB, iptacopán inhibe selectivamente esta vía del complemento.

A través de este mecanismo de acción se alivian los signos y síntomas de estas enfermedades.

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 para la indicación inicial en HPN. Posteriormente, para la indicación en GC3, Fabhalta[®] obtuvo la autorización de la Comisión Europea el 31 de marzo de 2025¹. Fabhalta[®] fue designado como un «medicamento huérfano», un medicamento utilizado en enfermedades raras.

La dosis recomendada para ambas indicaciones 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. Esta vía de administración puede favorecer la adherencia y reducir la carga asistencial.

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[®] para la indicación de HPN el 19 de mayo de 2025². Para la indicación en GC3, la AEMPS publicó un segundo IPT de Fabhalta[®] el 4 de marzo de 2026³.

En HPN²

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.

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

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

³ Puede consultar la información en el siguiente enlace:
<https://www.aemps.gob.es/medicamentosUsoHumano/informesPublicos/docs/2026/IPT-433-Fabhalta-iptacopan.pdf>

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 publicado².

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

En GC3³

La eficacia y la seguridad de iptacopán en la GC3 se evaluaron principalmente en el estudio pivotal APPEAR-CG3, un ensayo fase III, multicéntrico, aleatorizado, doble ciego y controlado con placebo, realizado en pacientes adultos con GC3 confirmada por biopsia en el último año, con riñón nativo, concentración reducida de C3 sérico, cociente proteína/creatinina urinario de 24 horas (*UPCR*) ≥ 1 g/g y tasa de filtración glomerular estimada (*TFGe*) ≥ 30 mL/min/1,73 m², en tratamiento de soporte estable.

En APPEAR-CG3, iptacopán demostró superioridad frente a placebo en la variable principal, basada en la reducción relativa del *UPCR* de 24 horas a los 6 meses. Sin embargo, no se observaron diferencias estadísticamente significativas en la *TFGe* a los 6 meses.

Según el IPT publicado³, iptacopán constituye una nueva alternativa terapéutica para una enfermedad rara y progresiva; no obstante, persisten incertidumbres sobre la relevancia clínica a largo plazo, sobre su efecto en la preservación de la función renal y sobre el beneficio añadido en pacientes que ya reciben tratamiento inmunosupresor.

Asimismo, en pacientes con GC3 tratados con medicamentos inmunosupresores la reducción de la proteinuria puede ser más modesta, y la experiencia en GC3 recurrente tras trasplante renal es limitada.

En la indicación de GC3, la reacción adversa notificada con mayor frecuencia fue la infección del tracto respiratorio superior (12,9 %) y la reacción adversa grave notificada con mayor frecuencia fue la infección neumocócica (1 %).

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 un inhibidor C5.

En HPN, no se financia iptacopán en combinación con eculizumab, ni ravulizumab ni pegcetacoplán.

Más adelante, la Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos reunida en sesión de 20 de mayo de 2026 acordó proponer a la Dirección General de Cartera Común de Servicios del SNS y Farmacia la inclusión en la prestación farmacéutica de una nueva indicación para el

tratamiento de pacientes adultos con glomerulopatía por complemento 3 (GC3) en combinación con un inhibidor del sistema renina-angiotensina (SRA), o en pacientes que no toleran los inhibidores del SRA, o para quienes un inhibidor de SRA está contraindicado.

Se restringe a pacientes que cumplan las siguientes condiciones:

- Pacientes con proteinuria (cociente proteína/creatina en orina) ≥ 1 g/día (113 mg/mmol).
- Pacientes con TFGe ≥ 30 mL/min/1,73m².
- Pacientes que hayan recibido tratamiento inmunosupresor previo (incluyendo micofenolato de mofetilo MMF) durante 6 meses.

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.