

Guide destiné aux patients traités par FABHALTA® (iptacopan)▼

Ce guide est destiné aux patients à qui iptacopan (FABHALTA®) a été prescrit et à leurs aidants.

Ce guide vise à fournir des informations importantes sur la sécurité de ce médicament, en complément de la notice disponible dans la boîte de ce médicament. Veuillez conserver ce document afin de vous y référer ultérieurement.

▼ FABHALTA® (iptacopan) fait l'objet d'une surveillance supplémentaire qui permettra l'identification rapide de nouvelles informations de sécurité. Si vous présentez des effets indésirables, parlez-en à votre médecin, votre infirmier(ère), à votre pharmacien ou autre professionnel de santé. Ceci s'applique aussi à tout effet indésirable qui ne serait pas mentionné dans ce guide ou dans la notice fournie dans la boîte du médicament.

Si vous avez des questions ou des préoccupations concernant iptacopan, adressez-vous à un professionnel de santé.

Numéro de référence pour l'accès contrôlé (voir page 7) :

.....

Introduction

Ce guide a été développé pour fournir :

- des informations sur iptacopan et son mode d'action,
- des informations importantes sur les effets indésirables susceptibles de survenir pendant le traitement.

Si vous avez des questions ou des préoccupations concernant ce médicament ou votre santé et votre bien-être, veuillez en parler à votre médecin référent HPN, votre infirmier(ère) ou à votre pharmacien/autre professionnel de santé.

Mes contacts :

Médecin référent HPN/prescripteur :

Infirmier(e) :

Pharmacien(ne) :

Association patient HPN France : <https://hpnfrance.com/>



Carte de sécurité patient

Informations importantes de sécurité pour les patients traités par iptacopan (FABHALTA®).

▼ Ce médicament fait l'objet d'une surveillance supplémentaire. Cela permettra l'identification rapide de nouvelles informations de sécurité.

Si vous ressentez un quelconque effet indésirable, parlez-en à votre médecin, pharmacien ou infirmier(ère). Ceci s'applique aussi à tout effet indésirable qui ne serait pas mentionné dans la notice d'information. Vous pouvez également déclarer les effets indésirables sur www.signalement.social-sante.gouv.fr. En signalant les effets indésirables, vous contribuez à fournir davantage d'informations sur la sécurité du médicament.

Document diffusé sous l'autorité de l'ANSM - Juillet 2024 -v2

Votre carte de sécurité patient (à détacher)

Lors de la première prescription d'iptacopan, votre médecin référent vous remettra une carte de sécurité patient.

Cette carte, qui tiendra dans votre portefeuille, contient des informations de sécurité importantes sur les risques d'infections pendant le traitement par iptacopan, et sur comment réagir si vous ressentez certains signes et symptômes.

Gardez cette carte sur vous en permanence pendant le traitement et pendant au moins 2 semaines après votre dernière dose d'iptacopan, en cas d'urgence.

Elle contient également les coordonnées de votre médecin référent et de l'hôpital en cas d'urgence. Votre médecin référent inscrira ses coordonnées sur la carte.

Montrez cette carte à tout professionnel de santé impliqué dans vos soins afin qu'il sache que vous êtes traité(e) par iptacopan. Cela l'aidera à vous diagnostiquer et à vous traiter correctement.

Si vous n'avez pas reçu de carte de sécurité patient, veuillez contacter votre médecin référent.

Sommaire

- p.4** À propos de votre maladie et votre traitement par iptacopan
- p.6** Comment prendre iptacopan et observance thérapeutique
- p.8** Vaccinations ou traitement antibiotique de prévention
- p.10** Quels risques de sécurité importants dois-je savoir reconnaître ?
- p.12** Comment signaler un effet indésirable ?
- p.13** Qu'est-ce qu'une étude de sécurité post-AMM (PASS) ?
- p.14** Questions fréquentes
- p.16** Synthèse des points d'attention
- p.18** Termes utiles à connaître

Veuillez consulter la notice patient pour plus d'informations

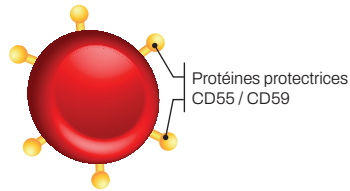
À propos de votre maladie et votre traitement par iptacopan

Que se passe-t-il dans l'Hémoglobinurie Paroxystique Nocturne (HPN) ?

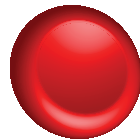
En tant que personne atteinte d'HPN, certains de vos globules rouges sont dépourvus de certaines protéines dites « protectrices ». Lorsque ces protéines sont présentes sur les globules rouges, ceux-ci sont comme protégés.

Sans ces protéines protectrices, les globules rouges sont détruits par le mécanisme de défense du système immunitaire appelé le « système du complément ». Cette destruction des globules rouges est appelée hémolyse.

Globule rouge dit normal :
présence
des protéines protectrices



Globule rouge dit HPN :
absence
des protéines protectrices



L'hémolyse entraîne de faibles taux d'hémoglobine (anémie), ce qui provoque :

- Fatigue,
- Difficulté à réaliser des activités,
- Douleur,
- Des maux de ventre (abdomen),
- Urines foncées,
- Essoufflement,
- Difficultés à avaler,
- Impuissance (troubles de l'érection chez l'homme),
- Formation de caillots sanguins.



Qu'est-ce-que FABHALTA® (iptacopan) ?

Iptacopan est utilisé seul pour traiter les adultes atteints d'HPN présentant une anémie (taux faibles de globules rouges) due à une destruction de leurs globules rouges.

FABHALTA® contient la substance active iptacopan, qui appartient à un groupe de médicaments appelés inhibiteurs du complément. Iptacopan est conçu pour cibler la protéine appelée « facteur B », qui fait partie du « système du complément ».

En la bloquant, il réduit l'activité du système immunitaire lié au complément et empêche le système immunitaire de votre organisme de détruire vos globules rouges.



Comment fonctionne iptacopan ?

En se fixant et en bloquant le facteur B, iptacopan réduit l'activité d'une des voies du complément et peut empêcher la destruction des globules rouges. Il a été démontré que ce médicament permet d'augmenter le taux d'hémoglobine (réduction de l'anémie) et d'améliorer d'autres symptômes de l'HPN, tels que la fatigue et le besoin de transfusions.

Veuillez consulter la notice patient pour plus d'informations

Comment prendre iptacopan correctement ?



La dose recommandée est **une gélule (200 mg) deux fois par jour**, idéalement une le matin et une le soir.



Vous pouvez avaler la gélule avec un verre d'eau. Il est possible de prendre iptacopan **avec ou sans nourriture**.



Prendre le médicament **à la même heure chaque jour** vous aidera à vous en souvenir. Veillez à prendre iptacopan selon le schéma de prise indiqué par votre médecin afin de réduire le risque de dégradation des globules rouges (voir page 11).

Il est important de n'oublier aucune dose.

N'arrêtez pas de prendre iptacopan (FABHALTA®) sans en parler d'abord au médecin référent.



En pratique voici quelques conseils pour ne pas oublier votre médicament :

- Prenez les gélules environ à la même heure chaque jour, cela vous aidera à vous en rappeler.
- Vous pouvez programmer une alarme sur votre téléphone à l'heure de la prise.

Afin de ne jamais être à court de traitement prenez l'habitude :

- **d'aller à vos consultations** médicales de suivi afin de pouvoir renouveler votre ordonnance et
- **d'anticiper la commande de vos boîtes**. Prenez en compte que votre médicament ne sera probablement pas accessible immédiatement en pharmacie et qu'un délai de quelques jours sera nécessaire le temps de la livraison.

Ce traitement fait l'objet d'un accès contrôlé. Suite à la prescription, il vous a été attribué un numéro de référence : **le pharmacien aura besoin de ce numéro pour commander votre traitement à chaque fois**. Vous pouvez retrouver ce numéro sur la première page de ce guide et sur votre carte de sécurité patient.



Que se passe-t-il si j'oublie de prendre iptacopan ?

Si vous oubliez une dose ou plusieurs doses, prenez une dose d'iptacopan dès que vous vous en rendez compte (même si c'est peu de temps avant la dose suivante prévue), puis prenez la dose suivante à l'heure habituelle. En cas de symptômes listés à la page 10, consultez immédiatement votre médecin.

Si vous manquez plusieurs doses d'affilée, contactez votre médecin qui pourra décider de vous surveiller pour détecter tout signe de destruction des globules rouges.



Que se passe-t-il si je prends trop de gélules d'iptacopan ?

Si vous avez accidentellement pris trop de gélules ou si quelqu'un d'autre prend accidentellement votre médicament, parlez-en immédiatement au médecin, ou à un(e) infirmier(e).



Que se passe-t-il si je pars en voyage ?

Si vous avez prévu de partir en voyage, il est important d'anticiper celui-ci et de prévoir assez de gélules, pour toute la durée de votre voyage, avec une marge de sécurité en cas d'imprévu. Pensez également à apporter avec vous votre ordonnance ainsi que votre carte de sécurité patient.

Novartis Europharm Limited et Novartis Pharma S.A.S. utilisent les données collectées afin d'assurer la gestion de la prise en charge de la prescription et de la délivrance de la spécialité pharmaceutique FABHALTA® dans le but de gérer et de réduire le risque lié à l'utilisation de cette spécialité (notamment suivi de la vaccination et/ou de la réception d'antibioprophylaxie). Ce traitement de données personnelles étant principalement fondé sur le respect de nos obligations légales et réglementaires, vous disposez d'un droit d'accès, de rectification, d'obtenir la limitation du traitement de ces données, et de donner des directives sur le sort de vos données après votre décès. Toutefois, vous ne disposez ni du droit d'opposition, de suppression, ni de portabilité des données. Si vous souhaitez nous adresser une question et/ou exercer vos droits, vous pouvez utiliser notre formulaire en ligne sur <https://www.novartis.com/privacy/dsr>. Vous pouvez également soumettre une réclamation à notre délégué à la protection des données à : global.privacy.office@novartis.com, et auprès de la CNIL (<https://www.cnil.fr/>) en cas de violation de vos droits. Toutes les informations à ce sujet sont disponibles ici : <https://www.novartis.com/fr-fr/politique-de-confidentialite>.

Veuillez consulter la notice patient pour plus d'informations

Vaccinations ou traitement antibiotique de prévention



Pourquoi dois-je me faire vacciner ?

L'iptacopan peut augmenter votre risque d'infection causée par des bactéries encapsulées, notamment *Neisseria meningitidis* (bactérie causant une méningite à méningocoque, incluant une infection grave des membranes du cerveau et du sang) et *Streptococcus pneumoniae* (bactérie causant une infection à pneumocoque, incluant une infection des poumons, des oreilles et du sang).

C'est pourquoi il faut s'assurer d'être vacciné avant de commencer le traitement. Les vaccinations réduisent le risque de certaines infections bactériennes graves telles que la méningite, la pneumonie et la septicémie. Ces différents vaccins sont nécessaires pour fournir la meilleure protection, **il est donc important que ceux-ci soient à jour**. Votre médecin référent s'assurera ainsi que vos rappels de vaccination soient faits.

Veuillez noter que les vaccinations réduisent les risques de développer des infections graves, mais ne les éliminent pas entièrement.

Le médecin référent vous informera des vaccinations dont vous avez besoin avant de commencer le traitement par iptacopan. Vous pourriez également avoir besoin d'un traitement antibiotique supplémentaire pour prévenir des infections.



Quelles sont les étapes de ma vaccination ?

Votre médecin s'assurera que vous recevez les vaccins suivants :

- Vaccin contre le méningocoque
- Vaccin contre le pneumocoque

Conformément aux recommandations vaccinales nationales, votre médecin s'assurera que vous avez également reçu :

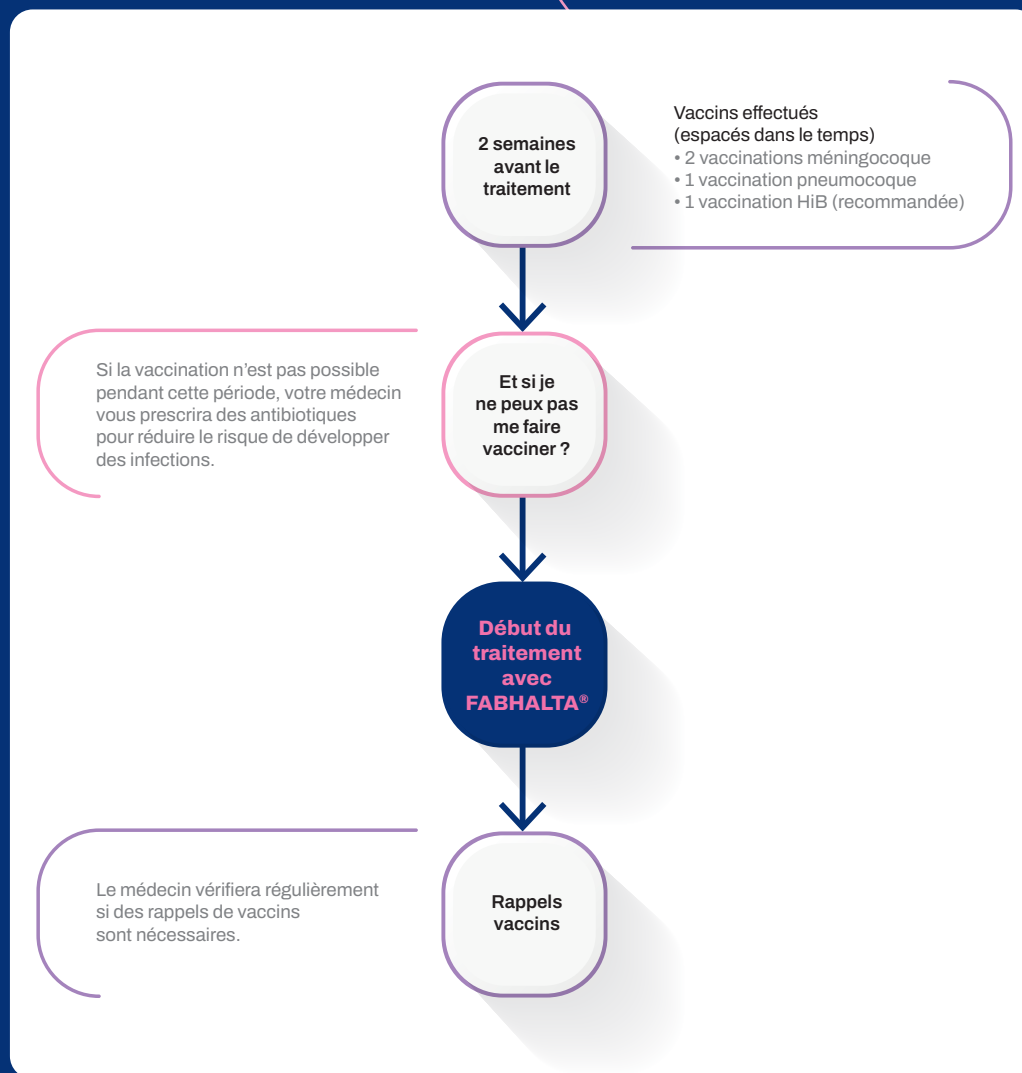
- Vaccin contre *Haemophilus influenzae* de type B (Hib)

Vous devrez recevoir tous ces vaccins au moins **2 semaines avant** de commencer le traitement par iptacopan.

Si la vaccination n'est pas possible pendant cette période, votre médecin référent vous prescrira des **antibiotiques pour réduire le risque de développer des infections bactériennes**. Iptacopan ne vous sera délivré que si votre médecin référent confirme que vous recevez les vaccins ou antibiotiques appropriés.

Même si vous avez déjà reçu ces vaccinations, votre médecin référent vous indiquera si vous devez **recevoir à nouveau des vaccins ou si vous avez besoin de rappels de vaccinations** avant de commencer le traitement. Il vous dira également si vous devez prendre un traitement antibiotique supplémentaire afin de compléter la protection conférée par la vaccination.

Schéma de vaccination



Veuillez consulter la notice patient pour plus d'informations

Quels risques de sécurité importants dois-je savoir reconnaître ?

Plusieurs types d'effets indésirables peuvent survenir pendant un traitement par iptacopan ; ils ne sont pas systématiques chez tous les patients.

Les effets indésirables suivants nécessitent une attention particulière de votre part :

Le risque d'infections

Iptacopan réduit les défenses de votre organisme contre les infections, spécifiquement l'activité du système du complément, ce qui peut augmenter le risque de certaines infections graves.

Cela inclut les infections causées par des types spécifiques de bactéries appelées « bactéries encapsulées » comme par exemple *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* et *Haemophilus influenzae* de type B.

Les infections causées par ces bactéries touchent le nez, la gorge, les poumons ou les muqueuses du cerveau et peuvent se propager dans le sang et l'organisme. Les infections bactériennes graves peuvent rapidement engager le pronostic vital et conduire au décès si elles ne sont pas identifiées et traitées précocement.

Les signes et symptômes d'une infection grave que vous devez surveiller sont :



Fièvre seule ou accompagnée :

- de tremblements ou de frissons
- de maux de tête
- d'une éruption cutanée
- d'une douleur thoracique et d'une toux
- d'un essoufflement/d'une respiration rapide
- d'une fréquence cardiaque élevée



Confusion



Courbatures accompagnées de symptômes pseudo-grippaux



Peau moite



Yeux sensibles à la lumière



Maux de tête accompagnés :

- de sensation de malaise (nausées) ou vomissements
- d'une raideur au niveau de la nuque ou du dos

Contactez votre médecin si vous présentez l'un des signes et symptômes ci-dessus et rendez-vous immédiatement à l'hôpital le plus proche pour recevoir des soins.

Gardez votre carte de sécurité avec vous et présentez-la si le professionnel de santé contacté n'est pas celui impliqué dans le traitement de votre HPN.

Le risque d'hémolyse à l'arrêt d'iptacopan

L'arrêt d'iptacopan peut augmenter le risque de destruction des globules rouges (hémolyse). Il est important que vous respectiez la dose et le schéma de prise que le médecin vous a prescrit.

Les signes et symptômes d'hémolyse que vous devez surveiller sont :

- Faible taux d'hémoglobine dans votre sang, observé dans vos tests sanguins
- Fatigue
- Sang dans les urines
- Maux de ventre (abdomen)
- Essoufflement
- Difficultés à avaler
- Trouble de l'érection (impuissance)
- Formation de caillots sanguins (thrombose)



Consultez immédiatement un médecin si vous remarquez des signes ou symptômes d'hémolyse.

Si vous souhaitez arrêter de prendre iptacopan, parlez-en à votre médecin avant d'arrêter le traitement. Si vous oubliez une dose, prenez-la dès que possible, même si elle est proche de la dose suivante.

Veuillez consulter la notice patient pour plus d'informations sur les autres effets indésirables

Comment signaler un effet indésirable ?

Comme tous les médicaments, ce médicament peut provoquer des effets indésirables, mais ceux-ci ne surviennent pas systématiquement chez tout le monde.

Ce médicament fait l'objet d'une surveillance supplémentaire qui permettra l'identification rapide de nouvelles informations relatives à la sécurité.

Si vous ressentez un quelconque effet indésirable, y compris les infections ou l'hémolyse grave mentionnées au paragraphe qui précède, parlez-en à votre médecin, pharmacien ou infirmier/ère. Ils pourront déclarer immédiatement cet effet indésirable suspecté d'être dû à ce médicament auprès du laboratoire.



Vous pouvez également déclarer les effets indésirables directement via le portail de signalement des événements sanitaires indésirables du ministère chargé de la santé <https://signalement.social-sante.gouv.fr> ou scannez le QR code.



Pour toute information complémentaire, vous pouvez consulter la notice du médicament sur le site de l'ANSM : <https://base-donnees-publique.medicaments.gouv.fr/> ou scannez le QR code.

Qu'est-ce qu'une étude de sécurité post-AMM (PASS) ?

Une étude de sécurité post-AMM (Post-Authorisation Safety Study, PASS) est une étude menée à la demande des autorités de santé une fois que le médicament a été approuvé et qui vise à recueillir des données supplémentaires sur la tolérance à long terme du médicament.

Pour iptacopan (FABHALTA®), les données seront recueillies par les centres participants au registre en Europe et dans d'autres pays.

Si votre équipe soignante participe au registre recueillant les données sur FABHALTA®, vous en serez informés et, recevrez des informations complètes sur l'étude. Vous aurez la possibilité de donner votre consentement à partager vos données en signant un formulaire. Si vous choisissez de participer à l'étude PASS, votre équipe soignante ou infirmier(e) recueilleront certaines de vos informations médicales notamment votre diagnostic, votre traitement et vos antécédents médicaux ainsi que les événements indésirables survenus pendant le traitement.

Votre participation est entièrement volontaire et toutes les données qui pourraient potentiellement vous identifier directement ou indirectement seront rendues **anonymes**. De plus, **vous pouvez retirer votre consentement à tout moment**.

Veillez consulter la notice patient pour plus d'informations

Questions fréquentes

” J’essaye d’avoir un enfant. Ce traitement peut-il affecter mes chances de tomber enceinte ?

“

• Si vous pensez être enceinte ou si vous envisagez d’avoir un enfant, demandez conseil à votre médecin avant de prendre iptacopan.

• Si vous tombez enceinte pendant votre traitement ou si vous allaitez avec iptacopan, veuillez consulter votre médecin immédiatement.

Votre médecin référent discutera avec vous des risques potentiels liés à la prise d’iptacopan pendant la grossesse ou l’allaitement.

” Que faire si je prévois de voyager à l’étranger ?

“

Si vous avez prévu de partir en voyage, il est important d’anticiper celui-ci et de prévoir assez de gélules, pour toute la durée de votre voyage, avec une marge de sécurité en cas d’imprévu.

Gardez toujours votre médicament avec vous (par exemple, si vous prenez l’avion, ne le mettez pas dans vos bagages en soute).

Pensez également à apporter avec vous votre ordonnance ainsi que votre carte de sécurité patient.

” A quoi me sert mon numéro de référence pour l’accès contrôlé ?

“

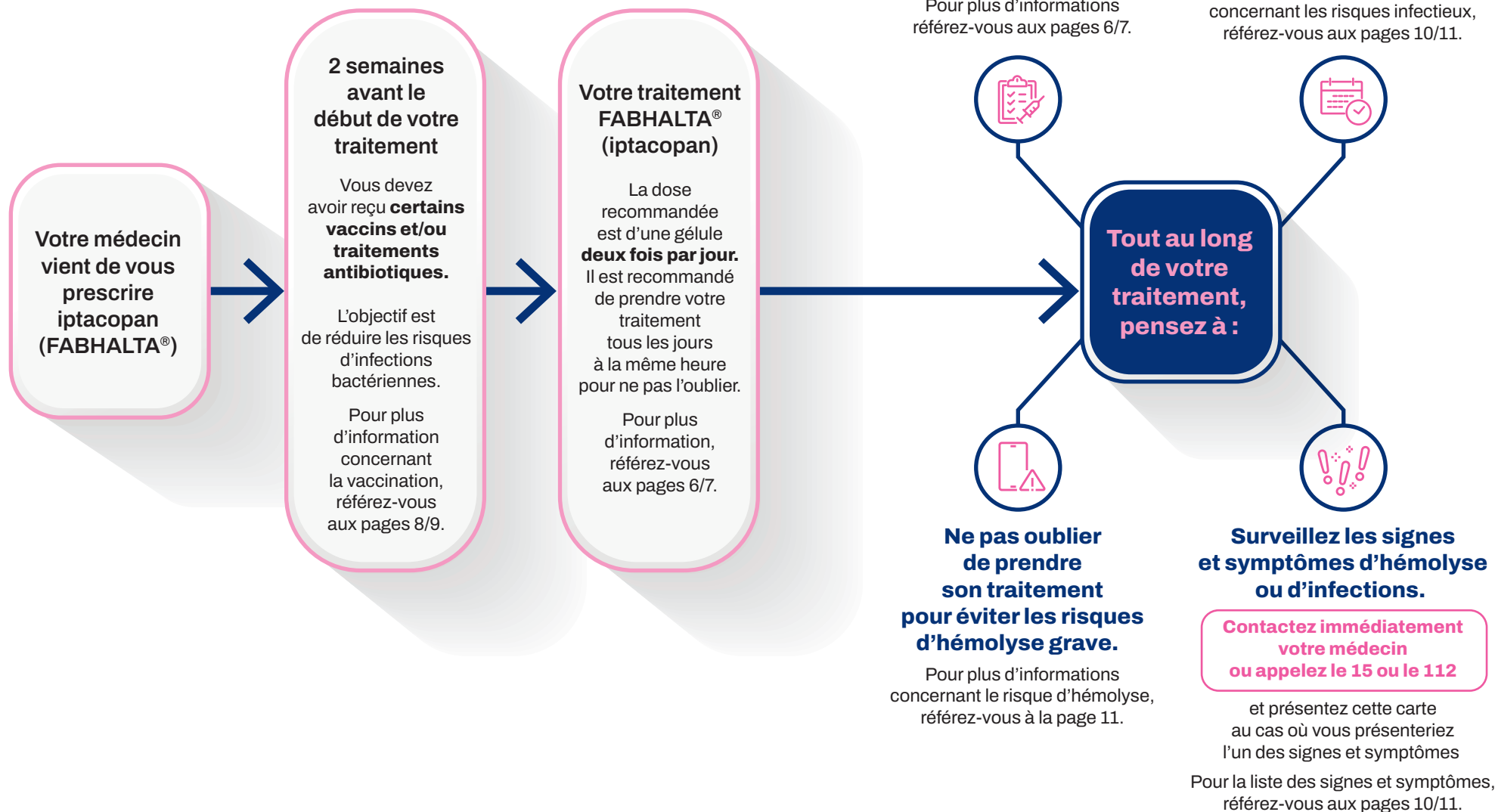
Dans le cadre de son autorisation de mise sur le marché, il est demandé au laboratoire qui commercialise ce médicament de s’assurer que vous avez reçu les vaccins nécessaires et/ou des antibiotiques prophylactiques avant la mise à disposition du traitement.

Une fois que le médecin référent aura effectué les vérifications nécessaires, **vous recevrez un numéro de référence pour l’accès contrôlé.**

Le pharmacien aura besoin de ce numéro pour commander le traitement, même lors des renouvellements de traitement.

Veuillez consulter la notice patient pour plus d’informations

Synthèse des points d'attention



Veillez consulter la notice patient pour plus d'informations



Ce guide a été relu par l'association HPN France – Aplasie Médullaire. Vous pouvez retrouver leur site internet via ce QR code ou directement sur : <https://hpnfrance.com/>



Vous pouvez également consulter à tout moment ce guide sur votre téléphone via ces QR codes, sur le site institutionnel de Novartis : <https://www.novartis.com/fr-fr/activite/information-securite-produits>



ou sur le site de l'ANSM : <https://ansm.sante.fr/documents/referance/mesures-additionnelles-de-reduction-du-risque-marr>

