

Guide du professionnel de santé pour FABHALTA® (iptacopan)▼

Cette brochure a été développée pour aider les professionnels de santé qui prescrivent iptacopan (FABHALTA®). Elle vise à fournir des conseils et à réduire les risques d'infections graves causées par les bactéries encapsulées pendant le traitement par iptacopan (FABHALTA®) et d'hémolyse après l'arrêt du traitement.

Elle doit être lue avec le résumé des caractéristiques du produit (RCP), disponible sur la base publique des médicaments (lien au dos de ce guide).

▼ Ce médicament fait l'objet d'une surveillance supplémentaire qui permettra l'identification rapide de nouvelles informations relatives à la sécurité. Déclarez immédiatement tout effet indésirable suspecté d'être dû à ce médicament auprès de votre Centre Régional de Pharmacovigilance ou sur <https://signalement.social-sante.gouv.fr>.

Introduction

Iptacopan (FABHALTA®) est indiqué en monothérapie pour le traitement des patients adultes atteints d'hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN) et présentant une anémie hémolytique (Hb < 10 g/dL) après un traitement par un inhibiteur anti-C5 pendant au moins 6 mois dans le cadre de l'accès précoce octroyée le 2 mai 2024 par la HAS.

L'objectif de cette brochure est d'aider à réduire les risques associés au traitement par iptacopan (FABHALTA®) en fournissant un guide axé sur les informations importantes de sécurité.

En résumé, vous devez :

- connaître les risques d'infection et d'hémolyse,
- vous assurer que votre patient a reçu les vaccinations appropriées ou une antibioprophylaxie contre les bactéries encapsulées et qu'il a été revacciné selon les recommandations.

Information importante :

Iptacopan (FABHALTA®) est fourni dans le cadre d'un accès contrôlé, conformément à son Plan de Gestion des Risques (PGR), et ne peut être dispensé qu'après réception d'une confirmation écrite que le patient a reçu les vaccins ou l'antibioprophylaxie appropriés.

Les commandes ne seront pas traitées si cette confirmation n'est pas fournie pour chaque patient.

Pour plus d'information sur l'accès contrôlé, voir page 8.

Vous recevrez des rappels annuels concernant les revaccinations obligatoires conformément aux recommandations du Haut Conseil de la Santé Publique (dont *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* et, si adapté, *Haemophilus influenzae*).

En outre, dans le cadre du plan de gestion des risques (PGR) les patients traités par iptacopan (FABHALTA®) doivent obligatoirement recevoir les documents suivants pour accompagner leur traitement :

- **Guide destiné aux patients**, pour les informer des risques associés au traitement par iptacopan (FABHALTA®),
- **Carte de sécurité patient**, contenant des informations de sécurité essentielles pour les patients notamment sur les symptômes devant l'inciter à consulter en urgence et pour alerter les professionnels de santé impliqués dans les soins du patient.

Veillez demander à vos patients de porter leur carte de sécurité sur eux à tout moment pendant leur traitement et pendant au moins 2 semaines après leur dernière dose d'iptacopan (FABHALTA®), en cas d'urgence.

Que contient ce guide ?

p.4	Risque d'infections graves
p.5	Vaccinations ou traitements antibioprophyactiques
p.7	Risque d'hémolyse grave après l'arrêt d'iptacopan (FABHALTA®)
p.8	Système d'accès contrôlé
p.9	L'étude de sécurité post autorisation (PASS)
p.10	En résumé
p.11	Glossaire

Risque d'infections graves

Iptacopan (FABHALTA®) peut augmenter le risque d'infections graves, pouvant engager le pronostic vital, causées par des bactéries encapsulées, notamment *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* et *Haemophilus influenzae* de type B.

Pendant le traitement par iptacopan (FABHALTA®)

Surveillez les patients pour détecter les signes et symptômes de méningite, de pneumonie ou de septicémie, tels que :



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 nausées ou de vomissements
- d'une raideur au niveau de la nuque ou du dos

Si une infection bactérienne est suspectée, traitez immédiatement avec des antibiotiques.



Informer

Sensibilisez vos patients sur les symptômes à surveiller.



Reconnaître

Évaluez immédiatement si une infection bactérienne est suspectée.



Traiter

L'utilisation immédiate d'antibiotiques empiriques est vitale en cas de suspicion de méningite, de pneumonie ou de septicémie. Ensuite identifiez l'agent pathogène et adaptez le traitement en conséquence si nécessaire.

Vaccinations ou traitements antibioprophylactiques

Avant de commencer le traitement par iptacopan (FABHALTA®)

Les patients doivent avoir été vaccinés contre les bactéries encapsulées **au moins 2 semaines avant** le début du traitement, conformément aux recommandations spécifiques du Haut Conseil de la Santé Publique¹ (HCSP) en matière de vaccination.

Assurez-vous que les patients soient vaccinés contre :

- ***Neisseria meningitidis* (A, C, Y, W135 et B lorsque disponibles)**
- ***Streptococcus pneumoniae***

Conformément aux recommandations vaccinales nationales, veuillez-vous assurer que le patient soit également vacciné contre :

- ***Haemophilus influenzae* de type B (HiB)**

Une surveillance spécifique des manifestations de la maladie sous-jacente est recommandée dans les 2 semaines suivant chacune des vaccinations. Il est également recommandé que les personnes vivant dans l'entourage proche du patient soient vaccinées contre les sérogroupes A, C, Y, W135 et B.

Si un traitement immédiat par iptacopan (FABHALTA®) est nécessaire, administrez les vaccins requis dès que possible. De plus, des antibiotiques prophylactiques appropriés doivent être administrés au patient et ce **jusqu'à au moins 2 semaines** après la vaccination. Cette procédure doit être conforme aux recommandations spécifiques du HCSP¹.

Veuillez prendre en compte les recommandations en vigueur¹ concernant la vaccination contre *Haemophilus influenzae* de type B et vous assurer que le patient a été vacciné le cas échéant.

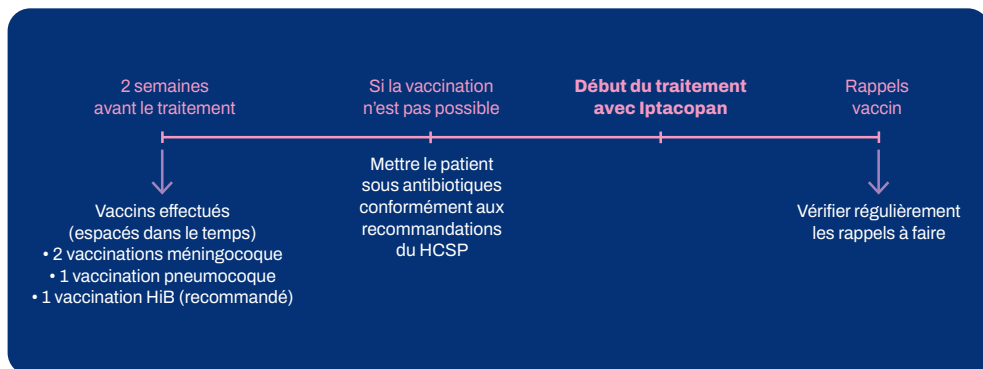
¹ Avis du Haut Conseil de la Santé Publique en vigueur disponible sur <https://www.hcsp.fr/explore.cgi/avisrapports>

Pendant le traitement par iptacopan (FABHALTA®)

Revaccinez si nécessaire, conformément aux recommandations du HCSP¹ en vigueur en matière de vaccination.

Les mesures ci-dessus réduisent, mais n'éliminent pas, le risque de développer une infection :

- Continuez de surveiller attentivement les patients pour détecter les signes précoces d'infections graves,
- Traitez immédiatement toute infection suspectée.



- Les recommandations du HCSP¹ relatives à l'utilisation appropriée des agents antibactériens doivent être prises en compte. La prescription d'une antibioprofylaxie des infections bactériennes invasives chez les patients traités vise à compléter la protection conférée par la vaccination.
- La pertinence d'une antibioprofylaxie prolongée doit faire l'objet d'une réévaluation intégrant l'expérience et les données acquises dans la prévention des infections invasives à bactéries encapsulées dans d'autres situations (sujets splénectomisés, drépanocytaires).
- Si une antibioprofylaxie est prescrite pendant toute la durée du traitement, elle doit être poursuivie, en cas d'arrêt du traitement, 5 jours et demi après l'arrêt du traitement.

¹ Avis du Haut Conseil de la Santé Publique en vigueur disponible sur <https://www.hcsp.fr/explore.cgi/avisrapports>

Risque d'hémolyse grave après l'arrêt d'iptacopan (FABHALTA®)

L'arrêt ou l'interruption, comme l'oubli d'une ou plusieurs doses, d'iptacopan (FABHALTA®) peut augmenter le risque d'hémolyse grave.

Dans ces situations, surveillez étroitement les patients pour détecter les signes et symptômes d'une potentielle hémolyse.

- Il est important de rappeler aux patients et à leurs aidants qu'il faut respecter scrupuleusement le schéma posologique.
- Les patients sont à risque de présenter une hémolyse grave pendant au moins 2 semaines après l'arrêt du traitement par iptacopan (FABHALTA®).
- Si le traitement par iptacopan (FABHALTA®) doit être interrompu, un traitement alternatif doit être envisagé.

Les signes et symptômes possibles de l'hémolyse comprennent (liste non exhaustive) :

- **Taux élevés de lactate déshydrogénase (LDH) ainsi qu'une diminution soudaine de l'hémoglobine ou de la taille du clone HPN**
- **Fatigue**
- **Hémoglobinurie**
- **Douleurs abdominales**
- **Dyspnée**
- **Dysphagie**
- **Dysfonction érectile**
- **Événements indésirables vasculaires majeurs, y compris thrombose veineuse ou artérielle**

Si une hémolyse survient après l'arrêt d'iptacopan (FABHALTA®), envisagez la reprise du traitement.

Les patients atteints d'HPN recevant de l'iptacopan doivent être régulièrement surveillés pour détecter les signes et symptômes d'hémolyse, notamment en mesurant les taux de lactate déshydrogénase (LDH).

Déclarez immédiatement tout effet indésirable suspecté d'être dû à un médicament auprès de votre Centre Régional de Pharmacovigilance ou sur <https://signalement.social-sante.gouv.fr>

Système d'accès contrôlé

Dans le cadre du plan de gestion des risques d'iptacopan (FABHALTA®), Novartis doit s'assurer que, dans chaque état membre où iptacopan (FABHALTA®) est commercialisé, un système visant à contrôler l'accès au-delà des mesures habituelles de réduction du risque est en place. Avant la dispensation du produit, la condition suivante doit être remplie :

- Soumission d'une confirmation écrite de la vaccination du patient contre les infections à *N. meningitidis* et *S. pneumoniae* et/ou de l'administration d'un traitement antibiotique prophylactique, conformément aux directives nationales sur la vaccination.

Dans le cadre de l'accès précoce, cette confirmation écrite vous sera demandée en complétant le formulaire disponible sur le site internet de l'ANSM <https://ansm.sante.fr/documents/referance/mesures-additionnelles-de-reduction-du-risque-marr> et en l'envoyant en même temps que la fiche de demande d'accès du Protocole d'Utilisation Thérapeutique de recueil de données (PUT-RD) par email à l'adresse : ap-iptacopan-hpn@icta.fr ou par courrier à l'adresse : Société ICTA PM, 11 rue du Bocage - 21121 Fontaine Les Dijon - France.

À partir de cette confirmation, **un numéro de référence pour l'accès contrôlé** sera créé pour ce patient et **vous sera communiqué** en même temps que l'éligibilité de votre patient à l'accès précoce.

Veillez sensibiliser **votre patient** sur la nécessité de **garder ce numéro de référence** pour l'accès contrôlé et de le présenter à la pharmacie **pour chaque commande** d'iptacopan (FABHALTA®).

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>.

L'étude de sécurité post autorisation (PASS)

Objectifs de l'étude

Novartis mène une étude internationale dite "PASS" (Post-Authorisation Safety Study) qui vise à **caractériser la tolérance** d'iptacopan (FABHALTA®) dans **la pratique clinique courante**.

Les autres objectifs de l'étude sont :

- de fournir des données supplémentaires sur l'utilisation pendant la grossesse et la tolérance à long terme,
- d'évaluer le respect des vaccinations requises et recommandées dans la population atteinte d'HPN traitée par iptacopan (FABHALTA®).

Comment est-elle menée ?

L'étude PASS a pour objectif d'utiliser les données recueillies par le biais du registre International PNH Interest Group (IPIG). L'objectif du registre est de développer une base de données internationale pour recueillir de manière prospective des données observationnelles sur l'HPN (quel que soit le traitement reçu). L'étude PASS suivra les caractéristiques des patients, les résultats cliniques, l'issue des grossesses ainsi que les données de tolérance à long terme pour les patients traités par iptacopan (FABHALTA®) dans les centres participants au registre.

Informez vos patients

Informez les patients au sujet de l'étude PASS. Si votre centre participe à la collecte de données dans l'étude PASS iptacopan (FABHALTA®), ils seront automatiquement inclus s'ils ont accepté la collecte de leurs données cliniques via le registre IPIG-PNH.

En cas de questions sur la PASS, veuillez contacter Novartis France (icm.phfr@novartis.com).

Informations supplémentaires

Pour plus d'informations sur iptacopan (FABHALTA®), adressez-vous au service d'Information et Communication Médicales :

Novartis Pharma S.A.S.
Service d'Information et Communication Médicales
(ICM) 8/10 rue Henri Sainte-Claire Deville
CS 40150
92563 Rueil Malmaison Cedex
Tél. : 01.55.47.66.00
Email : icm.phfr@novartis.com

En résumé

Risque d'infections graves

Iptacopan (FABHALTA®) peut augmenter le risque d'infections graves, pouvant engager le pronostic vital. Surveillez les patients pour détecter les signes et symptômes de méningite, de pneumonie ou de septicémie.

Pour plus d'informations, référez-vous à la **page 4**.

Vaccinations/antibioprophylaxie

Deux semaines avant de commencer le traitement, le patient doit avoir reçu toutes les doses de vaccins requis contre :

- *Neisseria meningitidis* (A, C, Y, W135 et B lorsque disponibles)
- *Streptococcus pneumoniae*

Conformément aux recommandations vaccinales nationales, veuillez-vous assurer que le patient soit également vacciné contre :

- *Haemophilus influenzae* de type B (HiB).

Se référer aux recommandations du HCSP¹ relatives à l'antibioprophylaxie des infections bactériennes invasives chez les patients traités par inhibiteurs du complément (dans l'attente de l'efficacité de la vaccination si le traitement est instauré avant la vaccination et/ou au long cours pour compléter la protection conférée par la vaccination.)

Pour plus d'informations, référez-vous à la **page 5**.

Risque d'hémolyse grave après l'arrêt d'iptacopan (FABHALTA®)

L'arrêt ou l'interruption d'iptacopan peut augmenter le risque d'hémolyse grave et ceci dès l'oubli d'une ou plusieurs doses et pendant au moins 2 semaines après l'arrêt du traitement.

Surveillez étroitement les patients pour détecter les signes et symptômes pendant cette période.

Pour plus d'informations, référez-vous à la **page 7**.

L'accès contrôlé

Un professionnel de santé doit confirmer que le patient a reçu tous les vaccins nécessaires et/ou une antibioprophylaxie avant l'initiation d'iptacopan (FABHALTA®).

Pour plus d'informations, référez-vous à la **page 8**.

Matériel d'éducation à destination des patients :

Remise des documents aux patients par le prescripteur (« guide à destination des patients » et « carte de sécurité patient »).

Pour plus d'informations, référez-vous à la **page 2**.

¹ Avis du Haut Conseil de la Santé Publique en vigueur disponible sur <https://www.hcsp.fr/explore.cgi/avisrapports>

Glossaire

AMM

Autorisation de Mise sur le Marché

IPIG

International PNH Interest Group

LDH

Lactate Déshydrogénase

PASS

Post-Authorisation Safety Study (étude de sécurité post-AMM)

HCSP

Haut Conseil de la Santé Publique

HPN

Hémoglobinurie Paroxystique Nocturne

PGR

Plan de Gestion des Risques

Si vous avez des questions ou préoccupations concernant iptacopan (FABHALTA®), adressez-vous au service d'Information et Communication Médicales :

Novartis Pharma S.A.S.
Service d'Information et Communication Médicales (ICM)
8/10 rue Henri Sainte-Claire Deville
CS 40150
92563 Rueil Malmaison Cedex
Tél. : 01.55.47.66.00
Email : icm.phfr@novartis.com



Vous pouvez consulter le RCP via ce QR code, ou sur la page de la base de données publique des médicaments : <https://base-donnees-publique.medicaments.gouv.fr/>



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>