

Novartis reçoit l'approbation de Santé Canada pour le traitement oral par Fabhalta® destiné aux patients adultes atteints d'HPN

13 février 2025

- *Fabhalta® est la première monothérapie orale destinée aux adultes ayant déjà reçu un traitement et les adultes n'ayant jamais reçu de traitement, atteints d'hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN)^{1,2}*
- *Un besoin important non satisfait demeure dans le traitement de l'HPN, un trouble sanguin chronique, rare et potentiellement mortel. Une grande proportion de patients peut demeurer anémique et dépendante des transfusions sanguines^{3,4}*

MONTREAL, le 13 févr. 2025 /CNW/ - Novartis Canada est heureuse d'annoncer que Santé Canada a accordé un avis de conformité pour Fabhalta® (capsules d'iptacopan) comme premier traitement oral en monothérapie pour les patients adultes atteints d'hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN) et qui souffrent d'anémie hémolytique¹. Dans les essais cliniques, le traitement par Fabhalta® a nettement procuré une amélioration supérieure de l'hémoglobinurie en l'absence de transfusions de globules rouges (érythrocytes)^{1,5-6-7-8}.

La composante C5 du complément est un gène qui code un composant du système du complément, une partie du système immunitaire de l'organisme qui aide à se défendre contre les agents pathogènes et l'inflammation, tout en maintenant l'homéostasie⁹. Les traitements actuels par inhibiteur de la C5, administrés par perfusion, ne parviennent pas toujours à contrôler tous les symptômes de l'HPN^{3,4}. En fait, les patients sous traitement anti-C5 ont signalé une anémie persistante, certains nécessitant des transfusions sanguines au moins une fois par année^{3,4}. Fabhalta® est le seul inhibiteur du facteur B, une thérapie à petites molécules qui traite les maladies causées par la dérégulation de la voie alterne du complément, offrant un contrôle complet de la destruction des globules rouges à l'intérieur et à l'extérieur des vaisseaux sanguins (hémolyse intravasculaire et extravasculaire [HIV et HEV]), approuvé au Canada.

« Lorsque j'ai reçu mon diagnostic d'HPN en 2003, très peu de médecins connaissaient l'HPN, encore moins la façon de la traiter. La disponibilité d'un nouveau traitement a changé la donne pour moi. J'ai connu un regain d'énergie qui m'a permis de recommencer à vivre », a déclaré Barry Katsof, président de l'Association québécoise de l'hémoglobinurie paroxystique nocturne. « L'approbation de l'ipacopan par Santé Canada offre désormais aux patients atteints d'HPN des options pour garantir qu'ils obtiennent des bienfaits optimaux pour leur traitement. »

L'approbation de Santé Canada est fondée sur l'essai de phase III APPLY-PNH chez des patients atteints d'anémie résiduelle, malgré un traitement anti-C5 antérieur, qui sont passés à Fabhalta®^{1,5}. De plus, l'approbation est étayée par l'étude de phase III APPOINT-PNH chez des patients n'ayant jamais reçu d'inhibiteur du complément^{1,6}.

« Une option orale sûre et efficace^{5,6,10-11} pour traiter l'HPN pourrait changer les pratiques et soulager le

fardeau thérapeutique touchant les personnes atteintes d'HPN et recevant des thérapies parentérales », a déclaré le Dr Christopher Patriquin, professeur adjoint de médecine et clinicien chercheur à l'Université de Toronto. « Chez les patients ayant déjà été traités, l'ipacopan s'est avéré supérieur à l'inhibition de la C5 en ce qui concerne l'amélioration du taux d'hémoglobines et l'évitement des transfusions. Il s'est également révélé efficace chez les patients n'ayant jamais été traités, offrant des augmentations significatives du taux d'hémoglobines sans transfusions^{5,10}. »

« Nous sommes fiers que Fabhalta® ait reçu l'approbation pour offrir un nouveau médicament oral aux Canadiens atteints d'HPN, une maladie chronique du sang qui change la qualité de la vie », a déclaré Mark Vineis, président national de Novartis Pharmaceuticals Canada Inc. « Cette nouvelle option de traitement offre un nouvel espoir aux patients, à leurs proches et aux professionnels de la santé qui prennent soin d'eux ».

L'efficacité clinique, l'innocuité et le rapport coût-efficacité de Fabhalta® sont actuellement à l'étude par l'Agence des médicaments du Canada (AMC) et l'Institut national d'excellence en santé et services sociaux (INESSS). Nous sommes impatients de communiquer leurs recommandations à la communauté des patients atteints d'HPN, dès leur mise à disposition.

À propos de l'hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN)

L'HPN est un trouble sanguin rare, chronique et potentiellement mortel, médié par le complément² (une maladie qui survient lorsque le système du complément est activé de manière inappropriée ou en excès). Les personnes atteintes d'HPN présentent une mutation acquise dans certaines de leurs cellules souches hématopoïétiques (se trouvant dans la moelle osseuse et pouvant croître pour se transformer en globules rouges, globules blancs et plaquettes), laquelle amène ces cellules à produire des globules rouges susceptibles d'être détruits prématurément par le système du complément^{2,4}. Ce phénomène entraîne une hémolyse intravasculaire (destruction des globules rouges dans les vaisseaux sanguins) et une hémolyse extravasculaire (destruction des globules rouges principalement dans la rate et le foie) lesquelles provoquent une anémie (faible taux de globules rouges dans la circulation sanguine), des thromboses (formation de caillots sanguins) et d'autres symptômes débilitants dans des combinaisons et des niveaux de gravité variables²⁻⁴.

On estime qu'environ 10 à 20 personnes sur un million dans le monde entier vivent avec l'HPN². Bien que l'HPN puisse se manifester à tout âge, elle est souvent diagnostiquée chez les personnes âgées de 30 à 40 ans¹²⁻¹³.

À propos de Fabhalta® (capsules d'ipacopan)

Fabhalta® est un inhibiteur oral du facteur B de la voie alterne du complément^{14,15,16}. Fabhalta® est indiqué en monothérapie pour le traitement des patients adultes atteints d'hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN) qui souffrent d'anémie hémolytique.

Fabhalta® n'est disponible que par l'entremise d'un programme de distribution contrôlé dans le cadre duquel les prescripteurs sont tenus d'inscrire les patients au programme et de confirmer la vaccination contre les bactéries encapsulées¹.

À propos de Novartis

Novartis est une société spécialisée dans les médicaments innovants. Chaque jour, nous nous efforçons de réimaginer la médecine pour améliorer et prolonger la vie des gens et donner aux patients, aux professionnels de la santé et aux sociétés les moyens d'agir face aux maladies graves. Nos médicaments sont utilisés par plus de 250 millions de personnes dans le monde.

Au Canada, Novartis Pharmaceuticals Canada Inc. emploie environ 600 personnes pour répondre aux

besoins en constante évolution des patients et du système de santé et investit plus de 30 millions de dollars en recherche et développement chaque année au pays. Pour en savoir plus, consultez www.novartis.ca (<https://www.novartis.com/ca-fr/>).

Références

- ¹ Fabhalta® (iptacopan capsules) Product Monograph. January 6, 2025.
- ² Cançado RD, Araújo A da S, Sandes AF, et al. Consensus statement for diagnosis and treatment of paroxysmal nocturnal haemoglobinuria. *Hematol Transfus Cell Ther.* 2021;43(3):341-348. doi:10.1016/j.htct.2020.06.006
- ³ McKinley CE, Richards SJ, Munir T, et al. Extravascular Hemolysis Due to C3-Loading in Patients with PNH Treated with Eculizumab: Defining the Clinical Syndrome. *Blood.* 2017;130(Supplement 1):3471. doi:10.1182/blood.V130.Suppl_1.3471.3471
- ⁴ Dingli D, Matos JE, Lehrhaupt K, et al. The burden of illness in patients with paroxysmal nocturnal hemoglobinuria receiving treatment with the C5-inhibitors eculizumab or ravulizumab: results from a US patient survey. *Ann Hematol.* 2022;101(2):251-263. doi:10.1007/s00277-021-04715-5
- ⁵ Risitano AM, Röth A, Kulasekararaj A, et al. Oral Iptacopan Monotherapy Has Superior Efficacy to Anti-C5 Therapy in Patients with Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria and Residual Anemia: Results From the Phase III APPLY-PNH Study. Presented at: 49th Annual Meeting of the European Society for Blood and Marrow Transplantation (EBMT); April 23-36, 2023; Paris, France.
- ⁶ Risitano AM, Han B, Ueda Y, et al. Oral Complement Factor B Inhibitor Iptacopan Monotherapy Improves Hemoglobin to Normal/Near-Normal Levels in Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria Patients Naïve to Complement Inhibitors: Phase III APPOINT-PNH Trial. Presented at: 49th Annual Meeting of the European Society for Blood and Marrow Transplantation (EBMT); April 23-36, 2023; Paris, France.
- ⁷ Risitano AM, Röth A, Soret J, et al. Addition of iptacopan, an oral factor B inhibitor, to eculizumab in patients with paroxysmal nocturnal haemoglobinuria and active haemolysis: an open-label, single-arm, phase 2, proof-of-concept trial. *Lancet Haematol.* 2021;8(5):e344-e354. doi:10.1016/S2352-3026(21)00028-4
- ⁸ Jang JH, Wong L, Ko BS, et al. Iptacopan monotherapy in patients with paroxysmal nocturnal hemoglobinuria: a 2-cohort open-label proof-of-concept study. *Blood Adv.* 2022;6(15):4450-4460. doi:10.1182/bloodadvances.2022006960
- ⁹ C5 complement C5 [Homo sapiens (human)]. Gene ID: 727. National Library of Medicine. <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/gene/727>. Accessed on January 8, 2025.
- ¹⁰ Novartis Pharmaceuticals. A Randomized, Multicenter, Active-Comparator Controlled, Open-Label Trial to Evaluate Efficacy and Safety of Oral, Twice Daily LNP023 in Adult Patients With PNH and Residual Anemia, Despite Treatment With an Intravenous Anti-C5 Antibody. *clinicaltrials.gov*; 2022. Accessed September 21, 2022. <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04558918>
- ¹¹ Novartis Pharmaceuticals. A Multicenter, Single-Arm, Open-Label Trial to Evaluate Efficacy and Safety of Oral, Twice Daily Iptacopan in Adult PNH Patients Who Are Naive to Complement Inhibitor Therapy. *clinicaltrials.gov*; 2022. Accessed September 21, 2022. <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04820530>
- ¹² Hill A, DeZern AE, Kinoshita T, Brodsky RA. Paroxysmal nocturnal haemoglobinuria. *Nat Rev Dis Primer.* 2017;3(1):17028. doi:10.1038/nrdp.2017.28
- ¹³ Schrezenmeier H, Röth A, Araten DJ, et al. Baseline clinical characteristics and disease burden in patients with paroxysmal nocturnal hemoglobinuria (PNH): updated analysis from the International PNH Registry. *Ann Hematol.* 2020;99(7):1505-1514. doi:10.1007/s00277-020-04052-z
- ¹⁴ Schubart A, Anderson K, Mainolfi N, et al. Small-molecule factor B inhibitor for the treatment of complement-mediated diseases. *Proc Natl Acad Sci.* 2019;116(16):7926-7931. doi:10.1073/pnas.1820892116

¹⁵ Barratt J, Rovin B, Zhang H, et al. POS-546 EFFICACY AND SAFETY OF IPTACOPAN IN IgA NEPHROPATHY: RESULTS OF A RANDOMIZED DOUBLE-BLIND PLACEBO-CONTROLLED PHASE 2 STUDY AT 6 MONTHS. *Kidney Int Rep.* 2022;7(2):S236. doi:10.1016/j.ekir.2022.01.577

¹⁶ Rizk DV, Rovin BH, Zhang H, et al. Targeting the Alternative Complement Pathway With Iptacopan to Treat IgA Nephropathy: Design and Rationale of the APPLAUSE-IgAN Study. *Kidney Int Rep.* 2023;8(5):968-979. doi:10.1016/j.ekir.2023.01.041

SOURCE Novartis Pharma Canada inc.

Coordonnées destinées aux médias: Adam Miller, responsable des communications et de la défense des droits des patients, +1 514-633-7873, camlph.communications@novartis.com

Source URL: <https://prod1.novartis.ca/ca-en/news/media-releases/novartis-recoit-lapprobation-de-sante-canada-pour-le-traitement-oral-par-fabhalta-destine-aux-patients-adultes-atteints-dhpn>

List of links present in page

1. <https://prod1.novartis.ca/ca-en/ca-en/fr/news/media-releases/novartis-recoit-lapprobation-de-sante-canada-pour-le-traitement-oral-par-fabhalta-destine-aux-patients-adultes-atteints-dhpn>
2. <https://www.novartis.ca>
3. <https://www.novartis.com/ca-fr/>
4. <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/gene/727>
5. <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04558918>
6. <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04820530>
7. <mailto:camlph.communications@novartis.com>