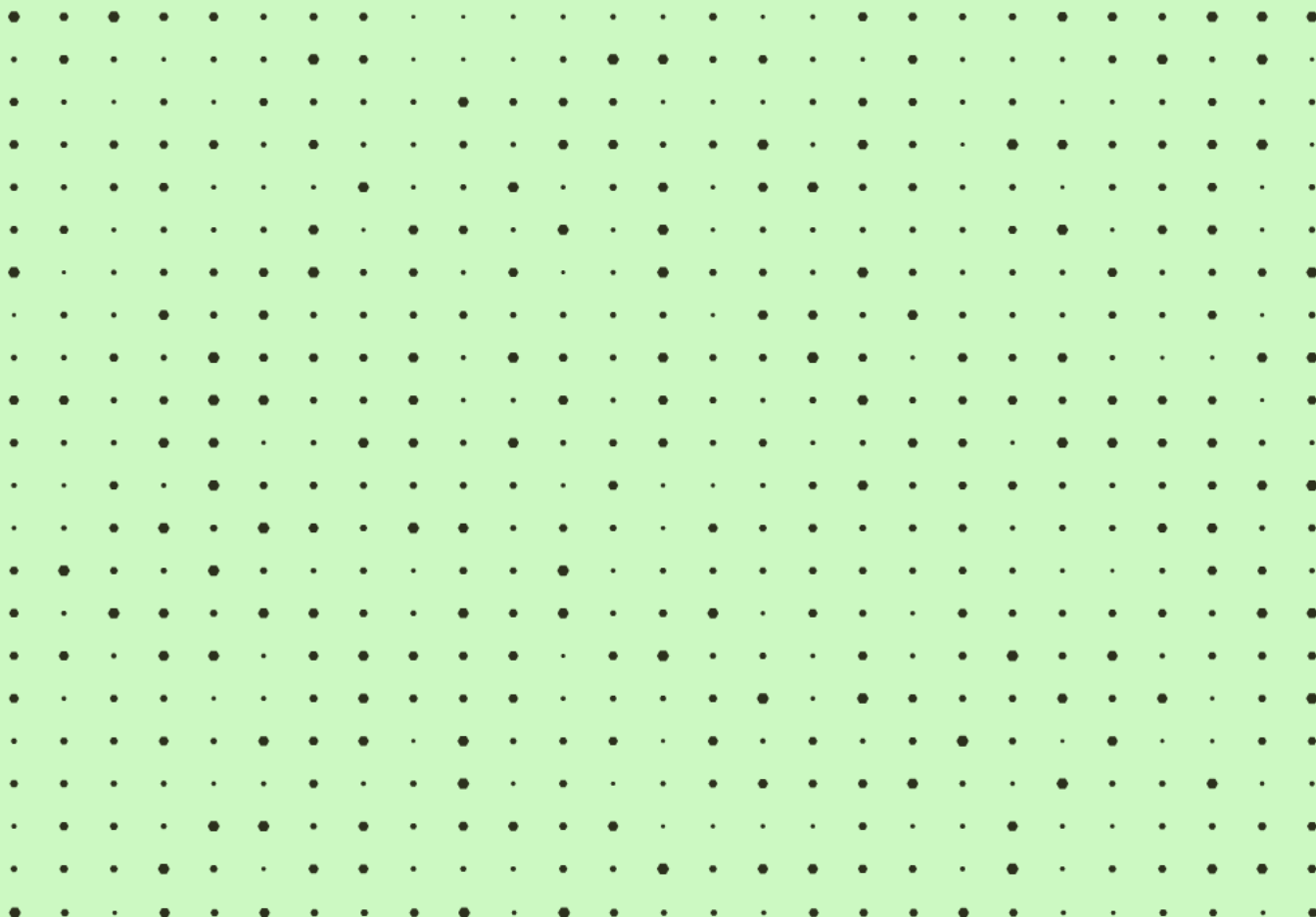


Høringsnotat - Innføring av utleveringsbestemmelse

Virkestoff: iptakopan
ATC-kode: L04AJ08

Høringsfrist: 22.08.2025

30.06.2025



Innholdsfortegnelse

Høring om innføring av utleveringsbestemmelse for iptakopan, ATC-kode L04AJ08....	2
Hjemmel	2
Informasjon om produkter med markedsføringstillatelse	2
Produkter med markedsføringstillatelse	2
Fullstendig indikasjonsordlyd	2
Kort om virkemåte og pasientgruppe	2
Vilkår for markedsføring	3
Bakgrunn for innføring av utleveringsbestemmelse	5
System for kontrollert utlevering	5
Oppstart og videreføring av iptakopan-behandling	5
Forslag til innført utleveringsbestemmelse.....	6
Formkrav til utleveringsbestemmelse.....	6
Anbefaling.....	6
Høringsfrist.....	6

Høring om innføring av utleveringsbestemmelse for iptakopan, ATC-kode L04AJ08

Direktoratet for medisinske produkter (DMP) sender med dette på høring forslag om å innføre utleveringsbestemmelse for iptakopan, ATC-kode L04AJ08, for å sikre riktig bruk av preparatet.

Hjemmel

DMP kan, med hjemmel i forskrift om legemidler til mennesker (legemiddelforskriften) § 7-4¹, bestemme at et legemiddel skal ha begrenset utlevering. Apoteket har plikt til å påse at kravene til utlevering er oppfylt for legemidler med utleveringsbestemmelser. Dette følger av forskrift om rekvirering og utlevering av legemidler m.m. § 10-4². For at det skal være mulig for apoteket å oppfylle sin plikt om å påse at en utleveringsbestemmelse oppfylles, må disse derfor inneholde krav som apotekpersonalet kan håndtere.

Informasjon om produkter med markedsføringstillatelse

Produkter med markedsføringstillatelse

Fabhalta 200 mg harde kapsler er p.t. det eneste preparatet med virkestoffet iptakopan som har markedsføringstillatelse i Norge. Fabhalta 200 mg harde kapsler fikk markedsføringstillatelse 17.05.2024 etter søknad i EUs sentrale prosedyre, og i henhold til EØS-avtalen og legemiddelforskriften §4-3¹ har DMP gitt tilsvarende tillatelse i Norge. Fullstendig forskriversinformasjon er gitt i godkjent preparatomtale (SmPC) som kan finnes i denne lenken: [Fabhalta SmPC](#).

Fullstendig indikasjonsordlyd

Fabhalta er indisert som monoterapi til behandling av voksne pasienter med:

- paroksysmal nattlig hemoglobinuri (PNH) som har hemolytisk anemi.
- komplement 3-glomerulopati (C3G) i kombinasjon med en renin-angiotensinsystem (RAS)-hemmer, eller hos pasienter som er intolerante for RAS-hemmer, eller hvor en RAS-hemmer er kontraindisert.

Kort om virkemåte og pasientgruppe

Iptakopan er en proksimal komplementhemmer som målrettet virker på faktor B for selektiv hemming av den alternative komplementveien.

PNH kjennetegnes av komplementmediert ødeleggelse av erytrocyttene (hemolyse). C3G karakteriseres av dysregulering av den alternative komplementveien som fører til glomerulær skade. Både PNH og C3G er svært sjeldne sykdommer som i Europa rammer hhv. rundt 1/50 000 og 1,2/10 000 individer.

¹ Forskrift om legemidler av 18.desember 2009 nr. 1839

² Forskrift om rekvirering og utlevering av legemidler m.m. av 2.juni 2022 nr.977

Vilkår for markedsføring

EU-kommisjonen har spesifisert vilkår for markedsføringstillatelsen, og disse gjelder også for Norge. Vilkårene er gitt i vedlegg II D til markedsføringstillatelsen under overskriften «Andre risikominimeringsaktiviteter» ([Fabhalta SmPC](#)) og lyder:

«Før lansering av FABHALTA i hvert medlemsland må innehaver av markedsføringstillatelsen komme til enighet med nasjonal kompetent myndighet om innholdet og formatet på opplæringsprogrammet, inkludert kommunikasjonsmedier, distribusjonsmodaliteter og andre aspekter av programmet.

Opplæringsprogrammet skal gi helsepersonell og pasienter/omsorgspersoner informasjon og kunnskap om følgende aktuelle sikkerhetsaspekter:

- *Infeksjoner forårsaket av innkapslede bakterier*
- *Alvorlig hemolyse etter seponering av iptakopan hos pasienter med PNH*

I hvert medlemsland hvor FABHALTA er markedsført, skal innehaver av markedsføringstillatelsen sikre at alle leger og pasienter/omsorgspersoner som er forventet å forskrive eller bruke FABHALTA, ha tilgang til/har mottatt følgende opplæringspakke:

- *Opplæringsmaterieil til leger*
- *Pasientinformasjonspakke*

Opplæringsmaterieil til leger:

- *Preparatomtale*
- *Veiledning til helsepersonell*

- *Veiledningen til helsepersonell skal inneholde følgende hovedpunkter:*

- *FABHALTA kan øke risikoen for alvorlige infeksjoner med innkapslede bakterier, inkludert *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* og *Haemophilus influenzae*.*
- *Sørge for at pasienter er vaksinert mot *N. meningitidis* og *S. pneumoniae* før oppstart av behandling og/eller får antibiotikaproylakse inntil 2 uker etter vaksinasjon.*
- *Anbefale pasienter vaksinasjon mot *H. influenzae*, hvis det er tilgjengelig.*
- *Sørge for at FABHALTA kun utleveres etter en skriftlig bekreftelse på at pasienten er vaksinert mot *N. meningitidis* og *S. pneumoniae* i samsvar med gjeldende lokale retningslinjer, og/eller får antibiotikaproylakse.*
- *Sørge for at forskrivende leger og farmasøyter får en årlig påminnelse om obligatoriske vaksiner i samsvar med gjeldende lokale retningslinjer for vaksinasjon (inkludert *N. meningitidis*, *S. pneumoniae* og, hvis tilgjengelig, *H. influenzae*).*
- *Overvåke pasienter med tanke på tegn og symptomer på sepsis, meningitt eller pneumoni, som: feber med eller uten skjelvninger eller frysninger, hodepine og feber, feber og utslett, feber med brystsmerte og hoste, feber med kortpustethet/rask pust, feber med høy hjerterytme, hodepine med kvalme eller oppkast, hodepine med stiv nakke eller stiv rygg, forvirring, verking i kroppen med influensalignende symptomer, klam hud, lysfølsomme øyne. Hvis bakterieinfeksjon mistenkes, skal pasienten behandles med antibiotika umiddelbart.*
- *Hos pasienter med PNH kan seponering av FABHALTA øke risikoen for alvorlig hemolyse. Det er derfor viktig å informere om viktigheten av å følge doseringsplanen. Det samme gjelder nøye overvåking med tanke på tegn på hemolyse etter seponering av behandling. Hvis seponering av FABHALTA er nødvendig, skal alternativ behandling vurderes. Dersom hemolyse oppstår etter seponering av FABHALTA, bør*

Direktoratet for medisinske produkter

Postboks 240 Skøyen, 0213 Oslo

post@dmp.no dmp.no

Brev stiles til DMP. Vennligst oppgi vår referanse.

det vurderes å gjenoppta behandling med FABHALTA. Mulige tegn og symptomer du må være oppmerksom på er: forhøyet nivå av laktatdehydrogenase (LDH) sammen med plutselig reduksjon i hemoglobin eller PNH-klonestørrelse, fatigue, hemoglobinuri, abdominal smerte, dyspné, dysfagi, erektil dysfunksjon eller alvorlige vaskulære hendelser, inkludert trombose.

- Informasjon om PASS hos pasienter med PNH og hvordan pasienter meldes inn, hvis aktuelt.

Pasientinformasjonspakken:

- Pakningsvedlegg
- Veiledning til pasienter/omsorgspersoner
- Pasientkort

• **Veiledningen til pasienter/omsorgspersoner skal inneholde følgende hovedpunkter:**

- Behandling med FABHALTA kan øke risikoen for alvorlige infeksjoner.
- Leger vil informere deg om hvilke vaksiner du må få før behandlingen og/eller om du trenger forebyggende antibiotikabehandling.
- Tegn og symptomer på alvorlig infeksjon er: feber med eller uten skjelvinger eller frysninger, hodepine og feber, feber og utslett, feber med brystsmerte og hoste, feber med kortpustethet/rask pust, feber med rask puls, hodepine med kvalme eller oppkast, hodepine med stiv nakke eller stiv rygg, forvirring, verking i kroppen med influensalignende symptomer, klam hud, lysfølsomme øyne.
- Kontakt lege hvis du opplever noen av de ovennevnte tegnene eller symptomene, og oppsøk øyeblikkelig medisinsk hjelp på nærmeste sykehus.
- Hvis du har PNH kan seponering av FABHALTA øke risikoen for alvorlig nedbrytning av røde blodceller (hemolyse). Det er viktig at du følger den planlagte behandlingen. Mulige tegn og symptomer du må være oppmerksom på er: utmattelse, blod i urinen, magesmerter, kortpustethet, svelgevansker, erektil dysfunksjon/impotens eller alvorlige vaskulære hendelser, som blodpropp.
- Snakk med legen før du eventuelt slutter med FABHALTA.
- Hvis du glemmer en dose, skal du ta neste dose så snart du kan, selv om det snart er tid for neste dose.
- Du vil få et pasientkort som du alltid må ha med deg. Du må også fortelle alt helsepersonell som behandler deg, at du behandles med FABHALTA.
- Hvis du får bivirkninger, inkludert infeksjoner eller alvorlig hemolyse, er det viktig at du straks melder fra om det.
- Du vil få nærmere opplysninger om deltakelse i PASS hvis du har PNH.

• **Pasientkort:**

- Erklæring om at pasienten får FABHALTA.
- Tegn og symptomer på alvorlig infeksjon med innkapslede bakterier samt oppfordring om å oppsøke medisinsk nødhjelp for å få antibiotikabehandling hvis bakterieinfeksjon mistenkes.
- Kontaktopplysninger om hvor helsepersonell kan få ytterligere informasjon.

• **System for kontrollert utlevering:**

- Innehaver av markedsføringstillatelsen skal sørge for at det i hvert medlemsland hvor FABHALTA er markedsført, finnes et system som har til formål å kontrollere tilgangen ut over de rutinemessige risikominimeringstiltak som er iverksatt. Følgende krav skal være oppfylt før legemidlet utleveres:

Direktoratet for medisinske produkter

Postboks 240 Skøyen, 0213 Oslo

post@dmp.no dmp.no

Brev stiles til DMP. Vennligst oppgi vår referanse.

- *Det er fremlagt en skriftlig bekreftelse på at pasienten er vaksinert mot infeksjon med *N. meningitidis* og *S. pneumoniae* og/eller har fått profylaktisk antibiotikabehandling i samsvar med lokale retningslinjer.*
- *Årlig påminnelse om obligatoriske revaksinasjoner:*
 - *Innehaver av markedsføringstillatelsen skal sende forskrivere/farmasøyer som forskriver/utleverer FABHALTA en årlig påminnelse slik at forskriver/farmasøyt sjekker om revaksinasjon (boostervaksine) mot infeksjon med *N. meningitidis* og *S. pneumoniae* er påkrevd for pasientene som behandles med FABHALTA, i samsvar med gjeldende nasjonale retningslinjer for vaksinasjon.»*

Bakgrunn for innføring av utleveringsbestemmelse

System for kontrollert utlevering

Innehaver av markedsføringstillatelsen skal sørge for at det finnes et system for kontrollert utlevering i alle land der Fabhalta markedsføres. Dette systemet skal ha til formål å kontrollere tilgangen ut over de rutinemessige risikominimeringstiltakene som er iverksatt. Før Fabhalta utleveres må det være fremlagt en skriftlig bekreftelse på at pasienten er vaksinert mot infeksjon med *N. meningitidis* og *S. pneumoniae* og/eller har fått profylaktisk antibiotikabehandling i samsvar med lokale retningslinjer.

Detaljene for hvordan systemet for kontrollert utlevering gjennomføres avtales mellom innehaver av markedsføringstillatelsen og nasjonal myndighet, som i visse tilfeller kan medføre at det opprettes separate distribusjonskanaler kun for det aktuelle legemiddelet. DMP har mottatt innspill fra Novartis med forslag om innføring av utleveringsbestemmelse for Fabhalta.

DMP vurderer at for Norges del anses en utleveringsbestemmelse for Fabhalta som et egnet middel for å sikre at vilkårene knyttet til systemet for kontrollert utlevering angitt i markedsføringstillatelsen oppfylles.

En utleveringsbestemmelse innføres per ATC-gruppe eller per virkestoff, legemiddelform og styrke. Fabhalta er p.t. det eneste iptakopan-holdige preparatet som har markedsføringstillatelse i Norge.

Oppstart og videreføring av iptakopan-behandling

Iptakopan kan predisponere pasienter for alvorlige, livstruende eller fatale infeksjoner forårsaket av innkapslede bakterier (preparatomtalen pkt. 4.4). Iptakopan er indisert for behandling av de svært sjeldne tilstandene PNH og C3G og DMP vurderer det påkrevd at behandling med iptakopan forskrives og følges opp av spesialist i hematologi eller nefrologi tilknyttet et sykehus.

Vilkårene i markedsføringstillatelsen spesifiserer videre at det må bekreftes at pasienten har fått nødvendig infeksjonsprofylakse før legemiddel utleveres, som derfor reflekteres i utleveringsbestemmelsen.

Forslag til innført utleveringsbestemmelse

Formkrav til utleveringsbestemmelse

Utleveringsbestemmelser håndheves av apotek. Bestemmelsen må formuleres slik at den alltid kan kontrolleres og håndteres av apotekpersonalet.

Anbefaling

DMP anbefaler at det knyttes følgende utleveringsbestemmelse til iptakopan (ATC-kode L04AJ08):

«Skal kun utleveres etter resept fra sykehuslege som er spesialist i hematologi eller nefrologi. Legen må bekrefte på resepten at pasienten har fått nødvendig infeksjonsprofylakse.»

Bestemmelsen ivaretar at forskrivning av iptakopan skjer av leger med egnet kompetanse, og den sikrer at pasienten er vaksinert og/eller har fått profylaktisk antibiotikabehandling i henhold til vilkår i markedsføringstillatelsen. Samtidig er den konkret nok til å kunne kontrolleres fra apotekenes side.

Høringsfrist

Høringsfrist er satt til: 22. august 2025.

Høringsinnspillene sendes Direktoratet for medisinske produkter. Vi ønsker fortrinnsvis å motta høringsinnspillene elektronisk til post@dmp.no. Vis til saksnummer 25/15591.

Høringsnotat og høringsbrev ligger også på nettsiden: <https://www.dmp.no/om-oss/horinger>.