



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/366661/2025
EMA/H/C/006554

Dawnzera (*donidalorsen*)

Общ преглед на Dawnzera и основания за разрешаване в ЕС

Какво представлява Dawnzera и за какво се използва?

Dawnzera е лекарство, което се използва за предотвратяване на пристъпи на наследствен ангиоедем (подуване) при пациенти на 12 и повече години. Хората с наследствен ангиоедем имат пристъпи на бързо подуване, които могат да възникнат навсякъде по тялото, например лицето, гърлото, ръцете, краката или корема. Тези пристъпи могат да бъдат животозастрашаващи, когато подуването около гърлото притисне дихателните пътища.

Dawnzera съдържа активното вещество донидалорсен (*donidalorsen*).

Как се използва Dawnzera?

Dawnzera се отпуска по лекарско предписание. Лечението трябва да започне под наблюдението на лекар с опит в диагностиката и лечението на пациенти с наследствен ангиоедем.

Dawnzera трябва да се прилага с подкожна инжекция веднъж месечно. Dawnzera може да се прилага веднъж на всеки 2 месеца, ако по време на лечението пациентът не е имал пристъпи в продължение на най-малко 3 месеца.

Лекарят трябва да обмисли прекратяване на лечението при пациенти с нормални нива на ензим, наречен C1 естеразен инхибитор (C1-INH), ако броят на пристъпите, които получават, не е намален в достатъчна степен.

За повече информация относно употребата на Dawnzera вижте листовката или се свържете с вашия лекар или фармацевт.

Как действа Dawnzera?

При пациенти с наследствен ангиоедем нивата в кръвта на протеина, наречен каликреин, са необичайно високи. Това води до повишени нива на друг протеин, наречен брадикинин, който участва в пристъпите на ангиоедем.

Активното вещество в Dawnzera (донидалорсен) е антисенс олигонуклеотид — малка молекула, която е насочена към информационната РНК (иРНК), съдържаща инструкции за образуването на

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



протеина прекаликреин, необходим за производството на каликреин. Това води до разграждане на иРНК, което намалява нивата на каликреин и брадикинин в кръвта, а оттам — и риска от пристъпи.

Какви ползи от Dawnzera са установени в проучванията?

В едно основно проучване е установено, че Dawnzera значително намалява броя на пристъпите при пациенти с наследствен ангиоедем в сравнение с плацебо (сляпо лечение).

Основното проучване включва 91 пациенти на възраст 12 и повече години с наследствен ангиоедем, които приемат Dawnzera (на всеки 4 седмици или на всеки 8 седмици) или плацебо. След 24 седмици средният брой пристъпи на месец е приблизително 0,4 при пациентите, получавали Dawnzera на всеки 4 седмици, и приблизително 1 при пациентите, получавали Dawnzera на всеки 8 седмици, в сравнение с приблизително 2,3 при пациентите, получавали плацебо. Освен това в проучването е оценено въздействието на лечението върху качеството на живот на пациентите с помощта на валидиран въпросник, който измерва как симптомите на заболяването влияят върху ежедневието на хората. Въз основа на отговорите на този въпросник е показано, че Dawnzera подобрява качеството на живот на пациентите в сравнение с плацебо.

Какви са рисковете, свързани с Dawnzera?

За пълния списък на нежеланите реакции и ограниченията при Dawnzera вижте листовката.

Най-честите нежелани реакции при Dawnzera, прилаган веднъж на всеки 4 седмици (които могат да засегнат повече от 1 на 10 души), са реакции на мястото на инжектиране, например еритем (зачервяване на кожата), промяна в цвета, болка, пруритус (сърбеж), индурация (втвърдяване), хематом (събиране на кръв под кожата), посиняване, ексфолиация (лющене на кожата), свръхчувствителност (алергични реакции) и подуване на мястото на инжектиране.

Защо Dawnzera е разрешен за употреба в ЕС?

Към момента на одобряване е съществувала необходимост от повече дългосрочни лечения, които предотвратяват остри пристъпи на наследствен ангиоедем. Показано е, че Dawnzera, прилаган веднъж на всеки 4 седмици, значително намалява броя на пристъпите на наследствен ангиоедем в сравнение с плацебо. Освен това пациентите, лекувани с Dawnzera, съобщават за подобрение в качеството си на живот.

С оглед на необходимостта от ефективни профилактични лечения лекарството може да се използва при пациенти с всички видове наследствен ангиоедем, въпреки че данните за употребата на Dawnzera при пациенти с нормални нива на протеина C1-INH са ограничени.

Данните за безопасността на Dawnzera са ограничени поради рядкото разпространение на заболяването; въпреки това наличните данни показват, че нежеланите реакции на Dawnzera са приемливи.

Поради това Европейската агенция по лекарствата реши, че ползите от употребата на Dawnzera са по-големи от рисковете и този продукт може да бъде разрешен за употреба в ЕС.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Dawnzera?

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Dawnzera, които следва да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени също в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Както при всички лекарства, данните във връзка с употребата на Dawnzera непрекъснато се проследяват. Съобщените нежелани реакции, свързани с употребата на Dawnzera, внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

Допълнителна информация за Dawnzera:

Допълнителна информация за Dawnzera можете да намерите на уебсайта на Агенцията:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/dawnzera.