



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Dawnzera (*donidalorsen*)

Přehled pro přípravek Dawnzera a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Dawnzera a k čemu se používá?

Dawnzera je léčivý přípravek používaný k prevenci záchvatů hereditárního angioedému (otoků) u osob ve věku 12 let a starších. Osoby s hereditárním angioedémem trpí záchvaty rychle vznikajících otoků, které se mohou vyskytnout v kterékoli části těla, například na obličeji, hrdle, pažích a nohou nebo v oblasti střev. Tyto záchvaty mohou být život ohrožující, pokud otok v okolí hrdla stlačuje dýchací cesty.

Přípravek Dawnzera obsahuje léčivou látku donidalorsen.

Jak se přípravek Dawnzera používá?

Výdej přípravku Dawnzera je vázán na lékařský předpis. Léčba by měla být zahájena pod dohledem lékaře, který má zkušenosti s diagnostikou a léčbou pacientů s hereditárním angioedémem.

Přípravek Dawnzera se podává ve formě injekce pod kůži jednou měsíčně. Přípravek Dawnzera lze podávat jednou za 2 měsíce, pokud pacient během léčby neměl alespoň 3 měsíce žádné záchvaty.

Lékař by měl zvážit ukončení léčby u pacientů, kteří mají normální hladinu enzymu zvaného inhibitor C1 esterázy (C1-INH), pokud se počet záchvatů u nich dostatečně nesníží.

Více informací o používání přípravku Dawnzera naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Jak přípravek Dawnzera působí?

U osob s hereditárním angioedémem se v krvi nachází abnormálně vysoká hladina bílkoviny zvané kalikrein. To vede ke zvýšení hladiny další bílkoviny zvané bradykinin, která se podílí na vzniku záchvatů angioedému.

Léčivá látka v přípravku Dawnzera, donidalorsen, patří mezi antisense oligonukleotidy. Jedná se o malou molekulu, která cílí na mediátorovou RNA (mRNA), která obsahuje instrukce pro tvorbu prekalikreinu, bílkoviny nezbytné pro produkci kalikreinu. To vede k rozpadu mRNA, což snižuje hladinu kalikreinu a bradykininu v krvi, a tím i riziko záchvatu.

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



Jaké přínosy přípravku Dawnzera byly prokázány v průběhu studií?

V jedné hlavní studii bylo prokázáno, že přípravek Dawnzera ve srovnání s placebem (neúčinným přípravkem) významně snižuje počet záchvatů u osob s hereditárním angioedémem.

Do hlavní studie bylo zařazeno 91 pacientů od 12 let věku s hereditárním angioedémem, kterým byl podáván přípravek Dawnzera (buď každé 4 týdny, nebo každých 8 týdnů), nebo placebo. Po 24 týdnech byl průměrný počet záchvatů za měsíc přibližně 0,4 u pacientů, kterým byl podáván přípravek Dawnzera každé 4 týdny, a přibližně 1 u pacientů, kterým byl podáván přípravek Dawnzera každých 8 týdnů, ve srovnání s přibližně 2,3 u pacientů, kterým bylo podáváno placebo. Kromě toho studie hodnotila dopad léčby na kvalitu života pacientů pomocí validovaného dotazníku, jehož prostřednictvím bylo zjišťováno, jak příznaky nemoci ovlivňují každodenní život pacientů. Na základě odpovědí v tomto dotazníku bylo prokázáno, že přípravek Dawnzera ve srovnání s placebem zlepšuje kvalitu života pacientů.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Dawnzera?

Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení přípravku Dawnzera je uveden v příbalové informaci.

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Dawnzera podávaného každé 4 týdny (které mohou postihnout více než 1 osobu z 10) jsou reakce v místě injekce, jako je erytém (zarudnutí kůže), změna barvy, bolest, pruritus (svědění), indurace (ztvrdnutí), hematom (nahromadění krve pod kůží), podlitiny, exfoliace (odlupování kůže), hypersenzitivita (alergické reakce) a otok v místě injekce.

Na základě čeho byl přípravek Dawnzera registrován v EU?

V době schválení přípravku existovala potřeba dlouhodobější léčby, která by zabránila průlomovým záchvatům hereditárního angioedému. Bylo prokázáno, že přípravek Dawnzera podávaný každé 4 týdny ve srovnání s placebem významně snižuje počet záchvatů hereditárního angioedému. Kromě toho pacienti léčení přípravkem Dawnzera uváděli zlepšení kvality života.

Vzhledem k potřebě účinné preventivní léčby lze přípravek použít u pacientů s jakýmkoli typem hereditárního angioedému, i když údaje o použití přípravku Dawnzera u pacientů s normální hladinou bílkoviny C1-INH jsou omezené.

Údaje o bezpečnosti přípravku Dawnzera jsou vzhledem ke vzácnosti tohoto onemocnění omezené. Z dostupných důkazů však vyplývá, že nežádoucí účinky přípravku Dawnzera jsou přijatelné.

Evropská agentura pro léčivé přípravky proto rozhodla, že přínosy přípravku Dawnzera převyšují jeho rizika, a může tak být registrován k použití v EU.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Dawnzera?

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Dawnzera, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Dawnzera průběžně sledovány. Podezření na nežádoucí účinky nahlášená v souvislosti s přípravkem Dawnzera jsou pečlivě hodnocena a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

Další informace o přípravku Dawnzera

Další informace o přípravku Dawnzera jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/dawnzera.