



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Dawnzera (*donidalorsen*)

En oversigt over Dawnzera, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Dawnzera, og hvad anvendes det til?

Dawnzera er et lægemiddel, der anvendes til at forebygge tilbagevendende anfald af hereditært angioødem (hævelse) hos personer i alderen 12 år og derover. Personer med hereditært angioødem har anfald af hurtig hævelse, som kan opstå hvor som helst i kroppen, f.eks. ansigt, hals, arme, ben eller omkring tarmen. Disse anfald kan være livstruende, når hævelse omkring halsen trykker imod luftvejene.

Dawnzera indeholder det aktive stof donidalorsen.

Hvordan anvendes Dawnzera?

Dawnzera fås kun på recept. Behandling bør indledes under opsyn af en læge med erfaring inden for diagnosticering og behandling af patienter med hereditært angioødem.

Dawnzera gives som en injektion under huden én gang om måneden. Dawnzera kan gives én gang hver 2. måned, hvis patienten ikke har haft anfald i mindst 3 måneder under behandlingen.

Lægen bør overveje at stoppe behandlingen hos patienter, der har normale niveauer af et enzym kaldet C1-esterasehæmmer (C1-INH), hvis antallet af anfald, de oplever, ikke er tilstrækkeligt reduceret.

Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Dawnzera, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

Hvordan virker Dawnzera?

Hos personer med hereditært angioødem er blodniveauet af et protein kaldet kallikrein unormalt højt. Dette fører til forhøjede niveauer af et andet protein kaldet bradykinin, som er involveret i angioødem-anfald.

Det aktive stof i Dawnzera, donidalorsen, er en antisense oligonukleotid, et lille molekyle, der er rettet mod den messenger-RNA (mRNA), der indeholder instruktioner om dannelse af prækallikrein, et

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



protein, der er nødvendigt for at danne kallikrein. Dette fører til, at mRNA nedbrydes, hvilket reducerer blodniveauet af kallikrein og bradykinin og dermed risikoen for anfald.

Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Dawnzera?

I et hovedstudie har Dawnzera vist sig at reducere antallet af anfald hos personer med arveligt angioødem betydeligt, sammenlignet med placebo (en uvirksom behandling).

Hovedstudiet omfattede 91 patienter fra 12-årsalderen med arveligt angioødem, som fik Dawnzera (enten hver 4. uge eller hver 8. uge) eller placebo. Efter 24 uger var det gennemsnitlige antal anfald pr. måned ca. 0,4 hos patienter, der fik Dawnzera hver 4. uge, og ca. 1 hos dem, der fik Dawnzera hver 8. uge, sammenlignet med ca. 2,3 hos dem, der fik placebo. Derudover vurderede studiet behandlingens indvirkning på patienternes livskvalitet ved hjælp af et valideret spørgeskema, der måler, hvordan sygdomssymptomerne påvirker dagligdagen. På grundlag af svarene i dette spørgeskema blev det påvist, at Dawnzera forbedrer patienternes livskvalitet set i forhold til placebo.

Hvilke risici er der forbundet med Dawnzera?

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Dawnzera fremgår af indlægssedlen.

De mest almindelige bivirkninger ved Dawnzera taget hver 4. uge (som kan forekomme hos mere end 1 ud af 10 personer) omfatter reaktioner på injektionsstedet såsom erytem (rødme), misfarvning, smerter, pruritus (kløe), induration (hærdning), hæmatom (blodsamling under huden), blå mærker, eksfoliering (afskalning af huden), overfølsomhed (allergiske reaktioner) og hævelse på injektionsstedet.

Hvorfor er Dawnzera godkendt i EU?

På godkendelsestidspunktet var der behov for flere langtidsbehandlinger, der forebygger gennembrudsanfald af arveligt angioødem. Dawnzera givet hver 4. uge har vist sig at reducere antallet af anfald af arveligt angioødem betydeligt i forhold til placebo. Desuden rapporterede de patienter, der blev behandlet med Dawnzera, om en forbedring af deres livskvalitet.

I betragtning af behovet for effektive forebyggende behandlinger kan lægemidlet anvendes hos patienter med enhver form for arveligt angioødem, selv om data om anvendelsen af Dawnzera hos patienter med normale niveauer af proteinet C1-INH er begrænsede.

Data om sikkerheden ved Dawnzera er begrænsede på grund af sygdommens sjældenhed, men den foreliggende dokumentation viser, at bivirkningerne ved Dawnzera er acceptable.

Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede derfor, at fordelene ved Dawnzera opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre, at Dawnzera anvendes sikkert og effektivt?

Der er desuden anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre, at Dawnzera anvendes sikkert og effektivt.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende anvendelsen af Dawnzera løbende overvåget. De formodede bivirkninger ved Dawnzera vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Øvrig information om Dawnzera

Yderligere information om Dawnzera findes på agenturets websted:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/dawnzera.