



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Dawnzera (*Donidalorsen*)

Übersicht über Dawnzera und warum es in der EU zugelassen ist

Was ist Dawnzera und wofür wird es angewendet?

Dawnzera ist ein Arzneimittel zur Vorbeugung von Attacken des hereditären Angioödems (Schwellungsattacken) bei Patienten ab einem Alter von 12 Jahren. Personen mit hereditärem Angioödem leiden unter Attacken mit schnell entstehenden Schwellungen, die überall am oder im Körper, wie zum Beispiel im Gesicht, im Rachen, an den Armen oder Beinen oder um den Darm herum, auftreten können. Diese Attacken können lebensbedrohlich sein, wenn die Schwellung im Rachenraum die Atemwege blockiert.

Dawnzera enthält den Wirkstoff Donidalorsen.

Wie wird Dawnzera angewendet?

Dawnzera ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich. Die Behandlung sollte unter der Aufsicht eines in der Diagnose und Behandlung von Patienten mit hereditärem Angioödem erfahrenen Arztes eingeleitet werden.

Dawnzera wird einmal monatlich als Injektion unter die Haut verabreicht. Dawnzera kann einmal alle 2 Monate verabreicht werden, wenn der Patient während der Behandlung mindestens 3 Monate lang keine Attacken hatte.

Bei Patienten mit normalen Konzentrationen eines Enzyms, das als C1-Esterase-Inhibitor (C1-INH) bezeichnet wird, sollte der Arzt in Erwägung ziehen, die Behandlung abzubrechen, wenn die Anzahl der bei ihnen auftretenden Attacken nicht ausreichend reduziert wird.

Weitere Informationen zur Anwendung von Dawnzera entnehmen Sie der Packungsbeilage, oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Wie wirkt Dawnzera?

Bei Menschen mit hereditärem Angioödem sind die Blutkonzentrationen eines Proteins namens Kallikrein ungewöhnlich hoch. Dies führt zu erhöhten Konzentrationen eines anderen Proteins namens Bradykinin, das an Attacken des Angioödems beteiligt ist.

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



Der Wirkstoff in Dawnzera, Donidalorsen, ist ein Antisense-Oligonukleotid, ein kleines Molekül, das auf die Boten-RNA (mRNA) abzielt, die Anweisungen für die Herstellung von Präkallikrein enthält, einem Protein, das für die Herstellung von Kallikrein erforderlich ist. Dies führt zum Abbau der mRNA, wodurch die Kallikrein- und Bradykinin-Konzentrationen im Blut und damit das Risiko von Attacken gesenkt werden.

Welchen Nutzen hat Dawnzera in den Studien gezeigt?

In einer Hauptstudie wurde gezeigt, dass Dawnzera die Anzahl der Attacken bei Personen mit hereditärem Angioödem im Vergleich zu Placebo (einer Scheinbehandlung) erheblich verringert.

An der Hauptstudie nahmen 91 Patienten ab einem Alter von 12 Jahren mit hereditärem Angioödem teil, die Dawnzera (entweder alle 4 Wochen oder alle 8 Wochen) oder ein Placebo erhielten. Nach 24 Wochen betrug die durchschnittliche Anzahl der Attacken pro Monat etwa 0,4 bei Patienten, die Dawnzera alle 4 Wochen erhielten, und etwa 1 bei Patienten, die Dawnzera alle 8 Wochen erhielten, verglichen mit etwa 2,3 bei Patienten, die Placebo erhielten. Darüber hinaus wurden in der Studie die Auswirkungen der Behandlung auf die Lebensqualität der Patienten anhand eines validierten Fragebogens bewertet, mit dem gemessen wurde, wie sich die Krankheitssymptome auf das tägliche Leben der Betroffenen auswirken. Auf der Grundlage der Antworten auf diesen Fragebogen wurde gezeigt, dass Dawnzera die Lebensqualität der Patienten im Vergleich zu Placebo verbessert.

Welche Risiken sind mit Dawnzera verbunden?

Die vollständige Auflistung der Nebenwirkungen und Einschränkungen im Zusammenhang mit Dawnzera ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Sehr häufige Nebenwirkungen von einmal alle 4 Wochen angewendetem Dawnzera (die mehr als 1 von 10 Behandelten betreffen können) sind Reaktionen an der Injektionsstelle wie Erythem (Hautrötung), Verfärbung, Schmerzen, Pruritus (Juckreiz), Verhärtung (Induration), Hämatom (Ansammlung von Blut unter der Haut), blaue Flecken, Abschälung der Haut (Exfoliation), Überempfindlichkeit (allergische Reaktionen) und Schwellung an der Injektionsstelle.

Warum wurde Dawnzera in der EU zugelassen?

Zum Zeitpunkt der Zulassung bestand Bedarf an längerfristigen Behandlungen, die Durchbruchattacken des hereditären Angioödems verhindern. Es wurde gezeigt, dass alle 4 Wochen verabreichtes Dawnzera die Anzahl der Attacken des hereditären Angioödems im Vergleich zu Placebo erheblich verringert. Darüber hinaus berichteten Patienten, die mit Dawnzera behandelt wurden, über eine Verbesserung ihrer Lebensqualität.

Angesichts der Notwendigkeit wirksamer vorbeugender Behandlungen kann das Arzneimittel bei Patienten mit jeder Art von hereditärem Angioödem angewendet werden, auch wenn die Daten zur Anwendung von Dawnzera bei Patienten mit normalen Konzentrationen des Proteins C1-INH begrenzt sind.

Die Daten zur Sicherheit von Dawnzera sind aufgrund der Seltenheit der Krankheit begrenzt; die verfügbaren Daten zeigen jedoch, dass die Nebenwirkungen von Dawnzera akzeptabel sind.

Die Europäische Arzneimittel-Agentur gelangte daher zu dem Schluss, dass der Nutzen von Dawnzera gegenüber den Risiken überwiegt und dass es in der EU zugelassen werden kann.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Dawnzera ergriffen?

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Dawnzera, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden auch in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Wie bei allen Arzneimitteln werden Daten zur Anwendung von Dawnzera kontinuierlich überwacht. Gemeldete Verdachtsfälle von Nebenwirkungen von Dawnzera werden sorgfältig ausgewertet und alle notwendigen Maßnahmen zum Schutz der Patienten ergriffen.

Weitere Informationen über Dawnzera

Weitere Informationen zu Dawnzera finden Sie auf den Internetseiten der Agentur:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/dawnzera.