



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Dawnzera (*donidalorseen*)

Ülevaade ravimist Dawnzera ja ELis müügiloa väljastamise põhjendus

Mis on Dawnzera ja milleks seda kasutatakse?

Dawnzera on ravim, mida kasutatakse päriliku angioödeemi hoogude ennetamiseks vähemalt 12-aastastel. Päriliku angioödeemiga patsientidel võivad kogu organismis tekkida kiire turse episoodid, näiteks näol, kurgus, kätel, jalgadel või soole ümber. Need hood on eluohtlikud, kui kõripiirkonna turse sulgeb hingamisteed.

Dawnzera sisaldab toimeainet donidalorseeni.

Kuidas Dawnzerat kasutatakse?

Dawnzera on retseptiravim. Ravi tuleb alustada päriliku angioödeemiga patsientide diagnostikas ja ravis kogenud arsti järelevalve all.

Dawnzerat manustatakse subkutaanse (nahaaluse) süstena üks kord kuus. Dawnzerat tohib manustada üks kord iga 2 kuu tagant, kui patsiendil ei ole ravi ajal esinenud haigushooge vähemalt 3 kuu jooksul.

Arst peab kaalutlema ravi lõpetamist patsientidel, kellel on ensüümi C1 esteraasi inhibiitori (C1-INH) normaalne tase, kui nende haigushoogude arv ei ole piisavalt vähenenud.

Lisateavet Dawnzera kasutamise kohta saate pakendi infolehel või küsige oma arstilt või apteekrilt.

Kuidas Dawnzera toimib?

Päriliku angioödeemiga patsientidel on valgu kallikreiini sisaldus veres ebanormaalselt suur. See suurendab teise valgu – bradükiniini – sisaldust, mis osaleb angioödeemi hoogudes.

Dawnzera toimeaine donidalorseen on antisense-oligonukleotiid – väike molekul, mis on suunatud informatsiooni-RNA (mRNA) vastu, mis sisaldab juhiseid kallikreiini tootmiseks, mis on vajalik valk prekallikreiini tootmisel. Selle tulemusena mRNA laguneb, mis vähendab kallikreiini ja bradükiniini sisaldust veres ning seega ka haigushoogude riski.

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



Mis on uuringute põhjal Dawnzera kasulikkus?

Põhiuuringus tõendati, et Dawnzera vähendab päriliku angioödeemiga patsientidel oluliselt haigushoogude arvu võrreldes platseeboga (näiv ravim).

Põhiuuringus osales 91 patsienti vanuses alates 12 aastat, kellel oli pärilik angioödeem ja kes kasutasid Dawnzerat (kas iga 4 nädala tagant või iga 8 nädala tagant) või platseebot. Pärast 24 nädalat oli keskmine haigushoogude arv kuus Dawnzerat iga 4 nädala tagant kasutanutel ligikaudu 0,4 ja Dawnzerat iga 8 nädala tagant kasutanutel ligikaudu 1 ning platseebot kasutanutel ligikaudu 2,3. Lisaks hinnati uuringus ravi toimet patsientide elukvaliteedile, kasutades heakskiidetud küsimustikku, millega mõõdetakse, kuidas haiguse sümptomid mõjutavad inimeste igapäevaelu. Küsimustiku vastuste põhjal tõendati, et Dawnzera parendab patsientide elukvaliteeti võrreldes platseeboga.

Mis on Dawnzera riskid?

Dawnzera kõrvalnähtude ja piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

Iga 4 nädala tagant kasutatava Dawnzera kõige sagedamad kõrvalnähud (võivad esineda enam kui 1 patsiendil 10st) on näiteks süstekoha reaktsioonid, näiteks süstekoha erüteem (nahapunetus), värvuse muutus, valu, kihelus (sügelus), kõvenemine, hematoom (vere kogunemine naha alla), verevalumid, ketendus, ülitundlikkus (allergilised reaktsioonid) ja turse.

Miks Dawnzera ELis heaks kiideti?

Müügiloa andmise ajal oli vaja pikaajalisemat ravi, mis ennetaks päriliku angioödeemi läbimurdehooge. On tõendatud, et iga 4 nädala tagant kasutatav Dawnzera vähendab oluliselt päriliku angioödeemi hoogude arvu võrreldes platseeboga. Lisaks teatasid Dawnzeraga ravitud patsiendid elukvaliteedi paranemisest.

Arvestades efektiivse ennetava ravi vajadust, tohib ravimit kasutada mis tahes tüüpi päriliku angioödeemiga patsientidel, kuigi andmed Dawnzera kasutamise kohta patsientidel, kellel on normaalne C1-INH valgu tase, on piiratud.

Andmed Dawnzera ohutuse kohta on harvaesineva haiguse tõttu piiratud, kuid olemasolevad tõendid näitavad, et Dawnzera kõrvalnähud on vastuvõetavad.

Euroopa Raviamet otsustas seetõttu, et Dawnzera kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid ja ravimi kasutamise võib ELis heaks kiita.

Mis meetmed võetakse, et tagada Dawnzera ohutu ja efektiivne kasutamine?

Dawnzera ohutu ja efektiivse kasutamise soovitusel ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on samuti lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite korral, tehakse Dawnzera kasutamise kohta pidevat järelvalvet. Dawnzera oletatavaid teatatud kõrvalnähte hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks võetakse vajalikke meetmeid.

Muu teave Dawnzera kohta

Lisateave Dawnzera kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/dawnzera.