



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Dawnzera (*donidalorseeni*)

Yleistiedot Dawnzerasta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Dawnzera on ja mihin sitä käytetään?

Dawnzera on lääke, jota käytetään vähintään 12-vuotiaiden perinnöllisen angioödeeman (turvotuksen) akuuttien kohtausten ennaltaehkäisyyn. Perinnöllistä angioödeemaa sairastavilla henkilöillä esiintyy kohtauksittaista nopeaa turvotusta, joka voi ilmetä missä tahansa kehon osassa, kuten kasvoissa, kurkussa, käsivarsissa, sääriässä tai vatsassa. Nämä kohtaukset voivat olla hengenvaarallisia, jos kurkun turvotus painaa hengitystietä.

Dawnzeran vaikuttava aine on donidalorseeni.

Miten Dawnzeraa käytetään?

Dawnzeraa saa ainoastaan lääkärin määräyksestä. Hoito on aloitettava perinnöllistä angioödeemaa sairastavien potilaiden diagnosointiin ja hoitoon perehtyneen lääkärin valvonnassa.

Dawnzera annetaan injektiona ihon alle kerran kuukaudessa. Dawnzera voidaan antaa kahden kuukauden välein, jos potilas on ollut kohtaukseton vähintään kolmen kuukauden ajan hoidon aikana.

Hoidon lopettamisesta on harkittava potilailla, joiden C1-esteraasin estäjä (C1-INH) -nimisen entsyymin pitoisuus on normaali, jos potilaiden kohtausten määrän väheneminen ei ole riittävä.

Lisätietoja Dawnzeran käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Dawnzera vaikuttaa?

Perinnöllistä angioödeemaa sairastavilla henkilöillä kallikreiini-nimisen proteiinin pitoisuus veressä on poikkeavan korkea. Tämä johtaa toisen angioödeemakohtauksiin liittyvän bradykiniini-nimisen proteiinin pitoisuuden suurenemiseen.

Dawnzera-valmisteen vaikuttava aine, donidalorseeni, on antisense-oligonukleotidi. Se on pieni molekyyli, joka kohdistuu lähetti-RNA:han, joka sisältää prekallikreiinin, kallikreiinin valmistuksessa tarvittavan proteiinin, valmistusohjeet. Tämä johtaa mRNA:n pilkkoutumiseen, mikä vähentää kallikreiinin ja bradykiniinin pitoisuuksia veressä ja näin ollen kohtausten riskiä.

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



Mitä hyötyä Dawnzerasta on havaittu tutkimuksissa?

Päätutkimuksessa Dawnzeran on osoitettu vähentävän merkitsevästi kohtausten määrää perinnöllistä angioödeemaa sairastavilla henkilöillä verrattuna lumelääkkeeseen.

Päätutkimukseen osallistui 91 vähintään 12-vuotiasta perinnöllistä angioödeemaa sairastavaa potilasta, jotka saivat Dawnzeraa (joko 4 tai 8 viikon välein) tai lumelääkettä. Kohtausten keskimääräinen määrä kuukaudessa oli 24 viikon kuluttua noin 0,4 potilailla, jotka saivat Dawnzeraa 4 viikon välein, ja noin 1 potilailla, jotka saivat Dawnzeraa 8 viikon välein, kun taas lumelääkettä saaneilla määrä oli noin 2,3. Lisäksi tutkimuksessa arvioitiin hoidon vaikutusta potilaiden elämänlaatuun validoidulla kyselylomakkeella, jolla mitattiin, miten sairauden oireet vaikuttavat ihmisten päivittäiseen elämään. Kyselyyn saatujen vastausten perusteella Dawnzeran osoitettiin parantavan potilaiden elämänlaatua verrattuna lumelääkkeeseen.

Mitä riskejä Dawnzeraan liittyy?

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Dawnzeran haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Dawnzeran yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä), kun valmistetta otetaan 4 viikon välein, ovat injektiokohdan reaktiot, kuten eryteema (ihon punoitus), värimuutokset, kipu, kutina, kovettuma, hematooma (ihonalainen verenpurkauma), mustelmat, hilseily (ihon kuoriutuminen), yliherkkyys (allergiset reaktiot) ja turvotus injektiokohdassa.

Miksi Dawnzera on hyväksytty EU:ssa?

Hyväksynnän aikaan tarvittiin lisää pitkäkestoisia hoitoja, joilla ehkäistään perinnöllisen angioödeeman läpilyöntikohtauksia. Dawnzeran on 4 viikon välein annettuna osoitettu vähentävän merkitsevästi perinnöllisen angioödeeman kohtausten määrää verrattuna lumelääkkeeseen. Lisäksi Dawnzeralla hoidetut potilaat ilmoittivat elämänlaatunsa parantuneen.

Harkittaessa tehokkaiden ennaltaehkäisevien hoitojen tarvetta lääkettä voidaan käyttää kaikenlaisista perinnöllistä angioödeemaa sairastavilla potilailla, vaikka tietoa Dawnzeran käytöstä potilailla, joilla C1-INH-proteiinin pitoisuus on normaali, on vain vähän.

Tietoja Dawnzeran turvallisuudesta on vain vähän sairauden harvinaisuuden vuoksi. Saatavilla oleva näyttö kuitenkin osoittaa, että Dawnzeran haittavaikutukset ovat hyväksyttäviä.

Euroopan lääkevirasto katsoi näin ollen, että Dawnzerasta saatava hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Miten voidaan varmistaa Dawnzeran turvallinen ja tehokas käyttö?

Suositukset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Dawnzeran käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät myös valmisteyhteenvedon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Dawnzeran käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Dawnzerasta ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Dawnzerasta

Lisätietoja Dawnzerasta on viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/dawnzera.