



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Dawnzera (*donidalorsen*)

Aperçu de Dawnzera et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

Qu'est-ce que Dawnzera et dans quel cas est-il utilisé?

Dawnzera est un médicament utilisé pour prévenir les crises d'angioedème héréditaire (gonflement) chez les personnes âgées de 12 ans et plus. Les personnes souffrant d'angioedème héréditaire ont des crises de gonflement rapide pouvant survenir n'importe où dans l'organisme, par exemple au visage, à la gorge, aux bras, aux jambes ou autour de l'intestin. Ces crises peuvent engager le pronostic vital lorsque les gonflements au niveau de la gorge compriment les voies aériennes.

Dawnzera contient la substance active donidalorsen.

Comment Dawnzera est-il utilisé?

Dawnzera n'est délivré que sur ordonnance. Le traitement doit être instauré sous la surveillance d'un médecin expérimenté dans le diagnostic et la prise en charge des patients atteints d'angioedème héréditaire.

Dawnzera est administré par injection sous la peau une fois par mois. Dawnzera peut être administré une fois tous les deux mois si le patient n'a pas eu de crise pendant au moins trois mois au cours du traitement.

Le médecin doit envisager l'arrêt du traitement chez les patients présentant des taux normaux d'une enzyme appelée inhibiteur de la C1 estérase (C1-INH) si le nombre de crises qu'ils subissent n'est pas suffisamment réduit.

Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation de Dawnzera, voir la notice ou contacter votre médecin ou votre pharmacien.

Comment Dawnzera agit-il?

Chez les personnes atteintes d'angioedème héréditaire, les taux sanguins d'une protéine appelée kallikréine sont anormalement élevés. Il en résulte une augmentation des taux d'une autre protéine appelée bradykinine, qui est impliquée dans les crises d'angioedème.

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



La substance active de Dawnzera, le donidalorsen, est un oligonucléotide antisens, une petite molécule qui cible l'ARN messager (ARNm) qui contient les instructions pour la fabrication de la prékallikréine, une protéine nécessaire à la production de kallikréine. Il en résulte une dégradation de l'ARNm, ce qui réduit le taux sanguin de kallikréine et de bradykinine et, par conséquent, le risque de crises.

Quels sont les bénéfices de Dawnzera démontrés au cours des études?

Dans une étude principale, il a été démontré que Dawnzera réduisait considérablement le nombre de crises chez les personnes atteintes d'angioedème héréditaire par rapport au placebo (un traitement fictif).

L'étude principale a porté sur 91 patients âgés de 12 ans et plus atteints d'angioedème héréditaire et ayant reçu Dawnzera (toutes les quatre semaines ou toutes les huit semaines) ou un placebo. Après 24 semaines, le nombre moyen de crises par mois était d'environ 0,4 chez les patients ayant reçu Dawnzera toutes les quatre semaines et d'environ une crise chez ceux ayant reçu Dawnzera toutes les huit semaines, contre environ 2,3 crises chez ceux ayant reçu le placebo. En outre, l'étude a évalué l'incidence du traitement sur la qualité de vie des patients au moyen d'un questionnaire validé mesurant la manière dont les symptômes de la maladie affectent la vie quotidienne des personnes. Sur la base des réponses à ce questionnaire, il a été démontré que Dawnzera améliore la qualité de vie des patients par rapport à un placebo.

Quels sont les risques associés à l'utilisation de Dawnzera?

Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions associés à Dawnzera, voir la notice.

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Dawnzera pris toutes les quatre semaines (qui peuvent toucher plus d'une personne sur 10) sont notamment les suivants: réactions au site d'injection telles qu'érythème (rougissement de la peau), altération de la couleur, douleur, prurit (démangeaisons), induration (durcissement), hématome (accumulation de sang sous la peau), ecchymoses, exfoliation (desquamation de la peau), hypersensibilité (réactions allergiques) et gonflement au site d'injection.

Pourquoi Dawnzera est-il autorisé dans l'UE?

Au moment de l'approbation, il était nécessaire de mettre en place davantage de traitements à long terme qui préviennent les crises aiguës d'angioedème héréditaire. Il a été démontré que Dawnzera, administré toutes les quatre semaines, permettait de réduire de manière significative le nombre de crises d'angioedème héréditaire par rapport à un placebo. En outre, les patients traités par Dawnzera ont fait état d'une amélioration de leur qualité de vie.

Compte tenu de la nécessité de traitements préventifs efficaces, le médicament peut être utilisé chez les patients atteints de tout type d'angioedème héréditaire, même si les données sur l'utilisation de Dawnzera chez les patients présentant des taux normaux de la protéine C1-INH sont limitées.

Les données sur la sécurité de Dawnzera sont limitées en raison de la rareté de la maladie; toutefois, les preuves disponibles montrent que les effets indésirables de Dawnzera sont acceptables.

Dès lors, l'Agence européenne des médicaments a estimé que les bénéfices de Dawnzera sont supérieurs à ses risques et que son utilisation peut être autorisée au sein de l'UE.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Dawnzera?

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Dawnzera ont également été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation de Dawnzera sont surveillées en permanence. Les effets indésirables suspectés rapportés sous Dawnzera sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

Autres informations relatives à Dawnzera:

De plus amples informations sur Dawnzera sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/dawnzera.