



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Dawnzera (*donidalorszen*)

A Dawnzera-ra vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer a Dawnzera és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Dawnzera-t 12 éves és idősebb, örökletes angioödémában szenvedő betegeknél alkalmazzák az angioödémás rohamok (duzzanat) megelőzésére. Az örökletes angioödémában szenvedő betegeknél gyors duzzadással járó rohamok alakulnak ki, és a duzzanatok a test bármely részén előfordulhatnak, például az arcon, a torokban, a karokon, a lábakon vagy a bél környékén. Ezek a rohamok életveszélyesek is lehetnek, ha a torok körüli duzzanat nyomja a légutakat.

A Dawnzera hatóanyaga a donidalorszen.

Hogyan kell alkalmazni a Dawnzera-t?

A Dawnzera csak receptre kapható. A kezelést az örökletes angioödémában szenvedő betegek diagnosztizálásában és kezelésében tapasztalt orvos felügyelete alatt kell megkezdeni.

A Dawnzera-t bőr alá adott injekcióként, havonta egyszer kell alkalmazni. A Dawnzera 2 havonta egyszer is adható, ha a betegnek a kezelés alatt legalább 3 hónapon keresztül nem volt rohama.

A kezelőorvosnak fontolóra kell vennie a kezelés leállítását olyan betegeknél, akiknél a C1-észteráz-gátlónak (C1-INH) nevezett enzim normális szintje áll fenn, ha az általuk elszenvedett rohamok száma nem csökken kellő mértékben.

A Dawnzera alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

Hogyan fejti ki hatását a Dawnzera?

Örökletes angioödémában szenvedő betegeknél kórosan magas a kallikrein nevű fehérje szintje a vérben. Ennek hatására megemelkedik egy másik fehérje, a bradikinin szintje is, amely az angioödémás rohamokban játszik szerepet.

A Dawnzera hatóanyaga, a donidalorszen egy antiszensz oligonukleotid, egy kis molekula, amely azt a hírvívó RNS-t (mRNS) célozza, amely utasításokat tartalmaz a prekallikrein – vagyis a kallikrein

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



előállításához szükséges fehérje – előállítására vonatkozóan. Mindez az mRNS lebontásához vezet, ami csökkenti a kallikrein és a bradikinin vérszintjét, és ezáltal csökken a rohamok kockázata.

Milyen előnyei voltak a Dawnzera alkalmazásának a vizsgálatok során?

Egy fő vizsgálatban a Dawnzera-ról kimutatták, hogy a placebohoz (hatóanyag nélküli kezelés) képest jelentősen csökkenti az örökletes angioödémában szenvedő betegeknél a rohamok számát.

A fő vizsgálatban 91, 12 éves és idősebb, örökletes angioödémában szenvedő beteg vett részt, akik vagy Dawnzera-t (4 hetente vagy 8 hetente), vagy placebót kaptak. 24 hét elteltével a rohamok havi átlagos száma kb. 0,4 volt a Dawnzera-t 4 hetente kapott betegeknél, kb. 1 a Dawnzera-t 8 hetente kapott betegeknél, és kb. 2,3 a placebót kapott betegeknél. A vizsgálatban értékelték továbbá a kezelésnek a betegek életminőségére gyakorolt hatását egy validált kérdőív segítségével, amely azt mérte, hogy a betegség tünetei hogyan befolyásolták a betegek mindennapi életét. A kérdőívre adott válaszok alapján kimutatták, hogy a Dawnzera a placebohoz képest javította a betegek életminőségét.

Milyen kockázatokkal jár a Dawnzera alkalmazása?

A Dawnzera alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

A 4 hetente alkalmazott Dawnzera leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) az injekció beadásának helyén fellépő reakciók, mint például a bőrpír, az elszíneződés, a fájdalom, a viszketés, a keményedés, a vérömleny, a véraláfutás, a hámlás, a túlérzékenység (allergiás reakciók) és a duzzanat az injekció beadásának helyén.

Miért engedélyezték a Dawnzera forgalomba hozatalát az EU-ban?

Az engedélyezés időpontjában több hosszú távú kezelésre volt szükség, amelyek megelőzik az örökletes angioödéma áttöréses rohamait. A 4 hetente alkalmazott Dawnzera bizonyítottan jelentősen csökkenti az örökletes angioödémás rohamok számát a placebohoz képest. Emellett a Dawnzera-val kezelt betegek életminőségük javulásáról számoltak be.

Figyelembe véve a hatékony megelőző kezelések szükségességét, a gyógyszer alkalmazható bármilyen típusú örökletes angioödémában szenvedő betegeknél, bár a Dawnzera alkalmazására vonatkozó adatok korlátozottak azoknál a betegeknél, akiknél a C1-INH fehérje szintje normális.

A Dawnzera biztonságosságára vonatkozó adatok a betegség ritkasága miatt korlátozottak; a rendelkezésre álló bizonyítékok azonban azt mutatják, hogy a Dawnzera mellékhatásai elfogadhatók.

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Dawnzera alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Dawnzera biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Dawnzera biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Dawnzera alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. A Dawnzera alkalmazásával összefüggésben

jelentett feltételezett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

A Dawnzera-val kapcsolatos egyéb információ

A Dawnzera-val kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/dawnzera.