



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Dawnzera (*donidalorsen*)

Sintesi di Dawnzera e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Dawnzera e per cosa si usa?

Dawnzera è un medicinale usato per prevenire gli attacchi di angioedema (gonfiore) ereditario nelle persone di età pari o superiore a 12 anni. Le persone affette da angioedema ereditario soffrono di attacchi caratterizzati da un rapido gonfiore che possono verificarsi in qualsiasi parte del corpo come il viso, la gola, le braccia, le gambe o intorno all'intestino. Questi attacchi possono essere potenzialmente letali quando il gonfiore intorno alla gola comprime le vie aeree.

Dawnzera contiene il principio attivo donidalorsen.

Come si usa Dawnzera?

Dawnzera può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica. Il trattamento deve essere iniziato sotto la supervisione di un medico esperto nella diagnosi e nella gestione di pazienti affetti da angioedema ereditario.

Dawnzera viene somministrato mediante iniezione sottocutanea una volta al mese. Dawnzera può essere somministrato una volta ogni 2 mesi se il paziente non ha avuto attacchi per almeno 3 mesi durante il trattamento.

Se il numero di attacchi manifestati non viene sufficientemente ridotto, il medico deve valutare la possibilità di interrompere il trattamento nei pazienti che presentano livelli normali di un enzima denominato inibitore della C1 esterasi (C1-INH).

Per maggiori informazioni sull'uso di Dawnzera, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

Come agisce Dawnzera?

Nelle persone affette da angioedema ereditario, i livelli ematici di una proteina denominata callicreina raggiungono valori anormalmente elevati. Ciò comporta un aumento dei livelli di un'altra proteina denominata bradichinina, coinvolta negli attacchi di angioedema.

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



Il principio attivo di Dawnzera, donidalorsen, è un oligonucleotide antisense, una piccola molecola che bersaglia l'RNA messaggero (mRNA) che contiene le istruzioni per produrre la precalicreina, proteina necessaria per produrre la callicreina. Tale azione determina la degradazione dell'mRNA, con conseguente riduzione del livello di callicreina e bradichinina nel sangue e, pertanto, del rischio di attacchi.

Quali benefici di Dawnzera sono stati evidenziati negli studi?

In uno studio principale è stato dimostrato che Dawnzera riduce significativamente il numero di attacchi nelle persone con angioedema ereditario rispetto al placebo (un trattamento fittizio).

Lo studio principale è stato condotto su 91 pazienti a partire da 12 anni di età affetti da angioedema ereditario ai quali è stato somministrato Dawnzera (ogni 4 settimane oppure ogni 8 settimane) o placebo. Dopo 24 settimane, il numero medio di attacchi al mese era di circa 0,4 nei pazienti trattati con Dawnzera ogni 4 settimane e di circa 1 per quelli trattati con Dawnzera ogni 8 settimane, rispetto a circa 2,3 per quelli i pazienti ai quali era stato somministrato placebo. Inoltre, lo studio ha valutato l'impatto del trattamento sulla qualità di vita dei pazienti mediante un questionario convalidato volto a misurare l'effetto dei sintomi della malattia sulla vita quotidiana delle persone. In base alle risposte al questionario, è stato dimostrato che Dawnzera migliora la qualità di vita dei pazienti rispetto al placebo.

Quali sono i rischi associati a Dawnzera?

Per l'elenco completo delle limitazioni e degli effetti indesiderati rilevati con Dawnzera, vedere il foglio illustrativo.

Gli effetti indesiderati più comuni di Dawnzera assunto ogni 4 settimane (che possono riguardare più di 1 persona su 10) comprendono reazioni in sede di iniezione quali eritema (arrossamento della pelle), cambiamento del colore, dolore, prurito, indurimento, ematoma (accumulo di sangue sotto la pelle), lividi, desquamazione, ipersensibilità (reazioni allergiche) e gonfiore in sede di iniezione.

Perché Dawnzera è autorizzato nell'UE?

Al momento dell'approvazione, sussisteva la necessità di trattamenti più a lungo termine che impedissero attacchi improvvisi di angioedema ereditario. È stato dimostrato che Dawnzera somministrato ogni 4 settimane riduce significativamente il numero di attacchi di angioedema ereditario rispetto al placebo. Inoltre, i pazienti trattati con Dawnzera hanno riferito un miglioramento della qualità di vita.

Considerando la necessità di trattamenti preventivi efficaci, il medicinale può essere usato in pazienti con qualsiasi tipo di angioedema ereditario, anche se i dati sull'uso di Dawnzera in pazienti con livelli normali di proteina C1-INH sono limitati.

I dati sulla sicurezza di Dawnzera sono limitati a causa della rarità della malattia; tuttavia, le evidenze disponibili dimostrano che gli effetti indesiderati di Dawnzera sono accettabili.

Pertanto, l'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Dawnzera sono superiori ai rischi e che il suo uso può essere autorizzato nell'UE.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Dawnzera?

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Dawnzera sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate anche nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Dawnzera sono costantemente monitorati. I presunti effetti indesiderati riportati con Dawnzera sono valutati attentamente e si intraprende qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti.

Altre informazioni su Dawnzera

Ulteriori informazioni su Dawnzera sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/dawnzera.