



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Dawnzera (*donidalorsenas*)

Dawnzera apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

Kas yra Dawnzera ir kam jis vartojamas?

Dawnzera – tai vaistas, skirtas 12 metų ir vyresniems žmonėms pasikartojančių paveldimos angioneurozinės edemos (tinimo) priepuolių profilaktikai. Paveldima angioneurozine edema sergantiems žmonėms pasireiškia staigūs bet kurios kūno dalies, pvz., veido, gerklės, rankų, kojų arba srities aplink žarnyną, tinimo priepuoliai. Šie priepuoliai gali būti pavojingi gyvybei, kai dėl patinimo aplink gerklę užspaudžiami kvėpavimo takai.

Dawnzera sudėtyje yra veikliosios medžiagos donidalorseno.

Kaip vartoti Dawnzera?

Dawnzera galima įsigyti tik pateikus receptą. Gydyimą reikia pradėti prižiūrint gydytojui, turinčiam paveldimos angioneurozinės edemos diagnozavimo ir ja sergančių pacientų gydymo patirties.

Dawnzera švirkščiamas po oda kartą per mėnesį. Dawnzera galima švirkšti kartą per 2 mėnesius, jeigu gydymo laikotarpiu pacientui bent 3 mėnesius nepasireiškė priepuolių.

Gydytojas turėtų apsvarstyti galimybę nebetaikyti gydymo šiuo vaistu pacientams, kurių organizme yra normalus fermento C1 esterazės inhibitoriaus (C1-INH) kiekis, jeigu jiems pasireiškiančių priepuolių skaičius nepakankamai sumažėjo.

Daugiau informacijos apie Dawnzera vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.

Kaip veikia Dawnzera?

Paveldima angioneurozine edema sergančių žmonių kraujyje būna neįprastai didelis baltymo, vadinamo kalikreinu, kiekis. Dėl to padidėja kito baltymo, vadinamo bradikininu, kuris atlieka tam tikrą vaidmenį sukeliant angioneurozinės edemos priepuolius, kiekis.

Dawnzera veikioji medžiaga donidalorsenas yra priešsprasmis oligonukleotidas – maža molekulė, veikianti informaciją perduodančią RNR (iRNR), kuri „nurodo“ gaminti prekalikreiną – baltymą, būtiną

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



kalikreinui gaminti. Dėl tokio poveikio iRNR suyra, dėl to sumažėja kalikreino ir bradikinino kiekis kraujyje, o kartu ir priepuolių rizika.

Kokia Dawnzera nauda nustatyta tyrimų metu?

Atlikus pagrindinį tyrimą, nustatyta, kad, palyginti su placebo (vaistu be veikliosios medžiagos), vartojant Dawnzera, paveldima angioneurozine edema sergantiems žmonėms pasireiškia gerokai mažiau priepuolių.

Pagrindiniame tyrime dalyvavo 91 paveldima angioneurozine edema sergantis pacientas nuo 12 metų, kuris vartojo Dawnzera (kas 4 savaites arba kas 8 savaites) arba placebo. Po 24 savaičių vidutinis priepuolių skaičius per mėnesį kas 4 savaites Dawnzera vartojusiems pacientams buvo maždaug 0,4, o Dawnzera vartojusiems kas 8 savaites – maždaug 1, palyginti su maždaug 2,3 priepuolio placebo vartojusiems pacientams. Be to, atliekant šį tyrimą, buvo vertinamas gydymo poveikis pacientų gyvenimo kokybei – tam naudotas patvirtintas klausimynas, pagal kurį buvo vertinama, kaip ligos simptomai veikia žmonių kasdienį gyvenimą. Remiantis atsakymais į šio klausimyno klausimus, nustatyta, kad, palyginti su placebo, vartojant Dawnzera, pacientų gyvenimo kokybė buvo geresnė.

Kokia rizika susijusi su Dawnzera vartojimu?

Išsamų visų Dawnzera šalutinio poveikio reiškinių ir apribojimų sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Dažniausias kas 4 savaites vartojamo Dawnzera šalutinis poveikis (galintis pasireikšti daugiau kaip 1 žmogui iš 10) yra reakcijos injekcijos vietoje, pvz., eritema (odos paraudimas), odos spalvos pakitimas, skausmas, pruritas (niežėjimas), sukietėjimas, hematoma (kraujo sanaka po oda), kraujosruvos, odos lupimasis, padidėjęs jautrumas (alerginės reakcijos) ir patinimas injekcijos vietoje.

Kodėl Dawnzera buvo registruotas ES?

Registracijos metu rinkoje reikėjo daugiau ilgalaikio poveikio vaistų, kurie padėtų išvengti paveldimos angioneurozinės edemos priepuolių. Nustatyta, kad, palyginti su placebo, kas 4 savaites vartojant Dawnzera, gerokai sumažėja paveldimos angioneurozinės edemos priepuolių. Be to, pagerėja Dawnzera gydomų pacientų gyvenimo kokybė.

Atsižvelgiant į veiksmingų profilaktinių gydymo priemonių poreikį, šį vaistą galima skirti bet kurio tipo paveldima angioneurozine edema sergantiems pacientams, nors duomenų apie Dawnzera vartojimo poveikį pacientams, kurių kraujyje yra normalus baltymo C1-INH kiekis, yra nedaug.

Dėl ligos retumo duomenų apie Dawnzera saugumą nėra daug, tačiau iš turimų duomenų matyti, kad Dawnzera šalutinis poveikis yra priimtinas.

Todėl Europos vaistų agentūra nusprendė, kad Dawnzera nauda yra didesnė už jo keliamą riziką ir jis gali būti registruotas vartoti ES.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Dawnzera vartojimą?

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį taip pat įtrauktos saugaus ir veiksmingo Dawnzera vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Dawnzera vartojimo duomenys yra nuolatos stebimi. Įtariamas Dawnzera šalutinis poveikis yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

Kita informacija apie Dawnzera

Daugiau informacijos apie Dawnzera rasite Agentūros tinklalapyje adresu:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/dawnzera.