



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Dawnzera (*donidalorsen*)

Ħarsa ġenerali lejn Dawnzera u għalfejn huwa awtorizzat fl-UE

X'inhu Dawnzera u għal xiex jintuża?

Dawnzera huwa mediċina li tintuża biex tipprevjeni attakki tal-aŋġjoedema (nefha) ereditarja f'persuni li għandhom 12-il sena u aktar. Persuni b'aŋġjoedema ereditarja jkollhom attakki ta' nefha rapida li tista' sseħħ fi kwalunkwe post fil-ġisem bħall-wieċċ, il-ġriżmejn, id-dirgħajn, ir-riġlejn jew madwar l-imsaren. Dawn l-attakki jistgħu jkunu ta' theddida għall-ħajja meta n-nefha madwar il-gerżuma tagħfas kontra l-passaġġ tal-arja.

Dawnzera fih is-sustanza attiva donidalorsen.

Kif jintuża Dawnzera?

Dawnzera jista' jinkiseb biss b'riċetta ta' tabib. It-trattament għandu jinbeda taħt is-superviżjoni ta' tabib b'esperjenza fid-dijanjożi u fl-immaniġġar ta' pazjenti b'aŋġjoedema ereditarja.

Dawnzera jingħata bħala injezzjoni taħt il-ġilda darba fix-xahar. Dawnzera jista' jingħata darba kull xahrejn jekk il-pazjent ma jkun sofra ebda attakk għal mill-inqas 3 xhur matul it-trattament.

It-tabib għandu jikkunsidra li jwaqqaf it-trattament f'pazjenti li jkollhom livelli normali ta' enzima msejha inibitur ta' esterażi C1 (C1-INH) jekk in-numru ta' attakki li jesperjenzaw ma jtnaqqasx b'mod suffiċjenti.

Għal iktar informazzjoni dwar l-użu ta' Dawnzera, ara l-fuljett ta' tagħrif jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispizjar tiegħek.

Kif jaħdem Dawnzera?

F'persuni li jbatu bl-aŋġjoedema ereditarja, il-livelli fid-demm ta' proteina msejha kallikreina huma għoljin b'mod anormali. Dan iwassal għal żieda fil-livelli ta' proteina oħra msejha bradikinina li hija involuta fl-attakki tal-aŋġjoedema.

Is-sustanza attiva f'Dawnzera, donidalorsen, hija oligonukleotid antisens, molekula żgħira li għandha fil-mira tagħha l-messaġġiera tal-RNA (mRNA) li fihom struzzjonijiet biex issir il-prekallikreina, proteina

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



meħtieġa għall-produzzjoni tal-kallikreina. Dan iwassal għat-tkissir tal-mRNA li jnaqqas il-livell ta' kallikreina u bradikinina fid-demm u għalhekk ir-riskju ta' attakki.

X'inhuma l-benefiċċji ta' Dawnzera li ħargu mill-istudji?

Fi studju ewlieni, Dawnzera intwera li jnaqqas b'mod sinifikanti n-numru ta' attakki f'persuni b'anġjoedema ereditarja meta mqabbel ma' placebo (trattament fint).

L-istudju ewlieni involva 91 pazjent minn 12-il sena 'l fuq li jbatu bl-anġjoedema ereditarja li ngħataw Dawnzera (jew kull 4 ġimgħat jew kull 8 ġimgħat) jew placebo. Wara 24 ġimgħa, in-numru medju ta' attakki fix-xahar kien ta' madwar 0.4 f'pazjenti li ngħataw Dawnzera kull 4 ġimgħat u madwar 1 għal dawk li ngħataw Dawnzera kull 8 ġimgħat meta mqabbel ma' madwar 2.3 għal dawk li ngħataw placebo. Barra minn hekk, l-istudju vvaluta l-impatt tat-trattament fuq il-kwalità tal-ħajja tal-pazjenti bl-użu ta' kwestjonarju vvalidat li jkejjel kif is-sintomi tal-marda jaffettwaw il-ħajja ta' kuljum tan-nies. Abbażi tat-tweġibiet għal dan il-kwestjonarju, Dawnzera ntweraw li jtejjeb il-kwalità tal-ħajja tal-pazjenti, meta mqabbel mal-placebo.

X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Dawnzera?

Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji u r-restrizzjonijiet b'Dawnzera, ara l-fuljett ta' tagħrif.

L-effetti sekondarji l-aktar komuni b'Dawnzera meħuda kull 4 ġimgħat (li jistgħu jaffettwaw aktar minn persuna 1 minn kull 10) jinkludu reazzjonijiet fis-sit tal-injezzjoni bħal eritema (ħmura tal-ġilda), tibdil fil-kulur, uġiġħ, prurite (ħakk), ebusija, ematoma (ġbir ta' demm taħt il-ġilda), tbenġil, esfoljazzjoni (tqaxxir tal-ġilda), sensittività eċċessiva (reazzjonijiet allergiċi) u nefħa fis-sit tal-injezzjoni.

Għaliex Dawnzera ġie awtorizzat fl-UE?

Fiż-żmien tal-approvazzjoni kien hemm bżonn ta' aktar trattamenti fit-tul li jipprevjenu attakki rivoluzzjonarji tal-anġjoedema ereditarja. Dawnzera li ngħata kull 4 ġimgħat intwera li jnaqqas b'mod sinifikanti l-għadd ta' attakki tal-anġjoedema ereditarja meta mqabbel ma' placebo. Barra minn hekk, il-pazjenti trattati b'Dawnzera rrappurtaw titjib fil-kwalità tal-ħajja tagħhom.

Meta titqies il-ħtieġa ta' trattamenti preventivi effettivi, il-medicina tista' tintuża f'pazjenti li jkollhom kwalunkwe tip ta' anġjoedema ereditarja, għalkemm id-*data* dwar l-użu ta' Dawnzera f'pazjenti li jkollhom livelli normali tal-proteina C1-INH hija limitata.

Id-*data* dwar is-sigurtà ta' Dawnzera hija limitata minħabba r-rarità tal-marda; madankollu, l-evidenza disponibbli turi li l-effetti sekondarji ta' Dawnzera huma aċċettabbli.

L-Aġenzija Ewropea għall-Medicini għaldaqstant iddeċidiet li l-benefiċċji ta' Dawnzera huma akbar mir-riskji tiegħu u li jista' jiġi awtorizzat għall-użu fl-UE.

X'miżuri qegħdin jittieħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Dawnzera?

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif ġew inkluzi wkoll ir-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzzjonijiet li għandhom jiġu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Dawnzera.

Bħal fil-każ tal-mediċini kollha, id-*data* dwar l-użu ta' Dawnzera hija ssorveljata kontinwament. L-effetti sekondarji ssuspettati rrapportati b'Dawnzera huma evalwati bir-reqqa u tittiehed kull azzjoni meħtieġa għall-protezzjoni tal-pazjenti.

Informazzjoni oħra dwar Dawnzera

Aktar informazzjoni dwar Dawnzera tinstab fis-sit web tal-Aġenzija:

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