



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Dawnzera (*donidalorsen*)

Een overzicht van Dawnzera en waarom het is geregistreerd in de EU

Wat is Dawnzera en wanneer wordt het voorgeschreven?

Dawnzera is een geneesmiddel dat wordt gebruikt om aanvallen van erfelijk angio-oedeem (zwelling) bij personen van 12 jaar en ouder te voorkomen. Mensen met erfelijk angio-oedeem hebben aanvallen met plotselinge zwellingen die overal in het lichaam kunnen optreden, zoals in het gezicht, de keel, de armen, de benen of rond de darm. Deze aanvallen kunnen levensbedreigend zijn wanneer zwelling rond de keel tegen de luchtwegen drukt.

Dawnzera bevat de werkzame stof donidalorsen.

Hoe wordt Dawnzera gebruikt?

Dawnzera is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar. De behandeling moet worden gestart onder toezicht van een arts die ervaring heeft met de diagnose en behandeling van patiënten met erfelijk angio-oedeem.

Dawnzera wordt eenmaal per maand toegediend als onderhuidse injectie. Dawnzera kan eenmaal per 2 maanden worden toegediend als de patiënt tijdens de behandeling gedurende ten minste 3 maanden geen aanvallen heeft gehad.

De arts dient te overwegen de behandeling stop te zetten bij patiënten met een normale concentratie van het enzym C1-esteraseremmer (C1-INH) als het aantal aanvallen dat zij ondervinden niet voldoende wordt verminderd.

Raadpleeg de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Dawnzera.

Hoe werkt Dawnzera?

Bij mensen met erfelijk angio-oedeem is de bloedconcentratie van het eiwit kallikreïne abnormaal hoog. Dit leidt tot verhoogde concentraties van een ander eiwit, bradykinine genaamd, dat betrokken is bij angio-oedeemaanvallen.

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



De werkzame stof in Dawnzera, donidalorsen, is een anti-sense oligonucleotide, een klein molecuul dat zich richt op het boodschapper-RNA (mRNA) dat instructies bevat voor de aanmaak van prekallikreïne, een eiwit dat nodig is voor de productie van kallikreïne. Dit leidt tot de afbraak van het mRNA, waardoor de bloedconcentratie van kallikreïne en bradykinine en dus het risico op aanvallen afneemt.

Welke voordelen bleek Dawnzera tijdens de studies te hebben?

In een hoofdstudie is aangetoond dat Dawnzera het aantal aanvallen bij mensen met erfelijk angio-oedeem aanzienlijk vermindert in vergelijking met placebo (een schijnbehandeling).

Bij de hoofdstudie waren 91 patiënten vanaf 12 jaar met erfelijk angio-oedeem betrokken die Dawnzera (om de 4 weken of om de 8 weken) of placebo kregen. Na 24 weken bedroeg het gemiddelde aantal aanvallen per maand ongeveer 0,4 bij patiënten die om de 4 weken Dawnzera kregen en ongeveer 1 bij patiënten die om de 8 weken Dawnzera kregen, tegenover ongeveer 2,3 bij patiënten die placebo kregen. Daarnaast werd in de studie het effect van de behandeling op de levenskwaliteit van patiënten beoordeeld aan de hand van een gevalideerde vragenlijst waarmee wordt gemeten hoe de ziektesymptomen het dagelijks leven van mensen beïnvloeden. Op basis van de antwoorden op deze vragenlijst bleek Dawnzera de kwaliteit van leven van de patiënten te verbeteren in vergelijking met placebo.

Welke risico's houdt het gebruik van Dawnzera in?

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van de bijwerkingen van en beperkende voorwaarden voor Dawnzera.

De meest voorkomende bijwerkingen van Dawnzera bij gebruik om de 4 weken (die bij meer dan 1 op de 10 personen kunnen optreden) zijn reacties op de injectieplaats, zoals erytheem (roodheid van de huid), verkleuring, pijn, pruritus (jeuk), induratie (verharding), hematoom (bloedophoping onder de huid), blauwe plekken, exfoliatie (huidschilfering), overgevoeligheid (allergische reacties) en zwelling op de injectieplaats.

Waarom is Dawnzera geregistreerd in de EU?

Ten tijde van de goedkeuring was er behoefte aan meer langdurige behandelingen die doorbraakaanvallen van erfelijk angio-oedeem voorkomen. Er is aangetoond dat Dawnzera bij toediening om de 4 weken het aantal aanvallen van erfelijk angio-oedeem significant verlaagt ten opzichte van placebo. Daarnaast meldden patiënten die met Dawnzera werden behandeld een verbetering van hun levenskwaliteit.

Gezien de behoefte aan doeltreffende preventieve behandelingen kan het geneesmiddel worden gebruikt bij patiënten met elk type erfelijk angio-oedeem, ook al zijn de gegevens over het gebruik van Dawnzera bij patiënten met normale concentraties van het eiwit C1-INH beperkt.

De gegevens over de veiligheid van Dawnzera zijn beperkt vanwege de zeldzaamheid van de ziekte; uit de beschikbare gegevens blijkt echter dat de bijwerkingen van Dawnzera aanvaardbaar zijn.

Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft daarom geconcludeerd dat de voordelen van Dawnzera groter zijn dan de risico's en dat dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Dawnzera te waarborgen?

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Dawnzera, zijn ook opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Dawnzera continu gevolgd. Vermoedelijke bijwerkingen waargenomen voor Dawnzera worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig worden maatregelen getroffen om patiënten te beschermen.

Overige informatie over Dawnzera

Meer informatie over Dawnzera is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/dawnzera.