



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Dawnzera (*donidalorsen*)

Przegląd wiedzy na temat leku Dawnzera i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Czym jest lek Dawnzera i w jakim celu się go stosuje

Dawnzera jest lekiem stosowanym w zapobieganiu napadom dziedzicznego obrzęku naczynioruchowego (opuchlizny) u osób w wieku od 12 lat. U osób z dziedzicznym obrzękiem naczynioruchowym występują napady szybko pojawiającej się opuchlizny, obejmującej dowolne miejsce ciała, np. twarz, gardło, ręce, nogi czy okolice jelita. Napady te mogą zagrażać życiu, gdy opuchlizna wokół gardła uciska drogi oddechowe.

Substancją czynną zawartą w leku Dawnzera jest donidalorsen.

Jak stosować lek Dawnzera

Lek wydawany na receptę. Leczenie powinien rozpoczynać lekarz mający doświadczenie w diagnozowaniu i leczeniu pacjentów z dziedzicznym obrzękiem naczynioruchowym.

Lek Dawnzera podaje się we wstrzyknięciu podskórnym raz w miesiącu. Lek Dawnzera można podawać raz na 2 miesiące, jeśli w trakcie terapii u pacjenta napady nie występowały przez co najmniej 3 miesiące.

Lekarz powinien rozważyć przerwanie leczenia u pacjentów z prawidłowym stężeniem enzymu zwanego inhibitorem esterazy C1 (C1-INH), jeśli liczba napadów nie ulega wystarczającemu zmniejszeniu.

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Dawnzera znajduje się w Ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

Jak działa lek Dawnzera

U osób z dziedzicznym obrzękiem naczynioruchowym stężenie we krwi białka zwanego kalikreiną jest nieprawidłowo podwyższone. Prowadzi to do zwiększenia stężenia innego białka, zwanego bradykininą, które uczestniczy w napadach obrzęku naczynioruchowego.

Substancja czynna leku Dawnzera, donidalorsen, to antysensowny oligonukleotyd — mała cząsteczka skierowana przeciwko informacyjnemu RNA (mRNA), która zawiera instrukcje dotyczące wytwarzania

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



prekalikreiny, białka niezbędnego do wytwarzania kalikreiny. Prowadzi to do rozpadu mRNA, co zmniejsza stężenia kalikreiny i bradykininy we krwi, a tym samym ryzyko napadów.

Korzyści ze stosowania leku Dawnzera wykazane w badaniach

W badaniu głównym wykazano, że lek Dawnzera, w porównaniu z placebo (leczeniem pozorowanym), znacząco zmniejsza liczbę napadów u osób z dziedzicznym obrzękiem naczynioruchowym.

W badaniu głównym uczestniczyło 91 pacjentów w wieku od 12 lat z dziedzicznym obrzękiem naczynioruchowym, którzy otrzymywali lek Dawnzera (co 4 tygodnie bądź co 8 tygodni) albo placebo. Po 24 tygodniach średnia liczba napadów w miesiącu wynosiła około 0,4 u pacjentów otrzymujących lek Dawnzera co 4 tygodnie i około 1 u pacjentów otrzymujących lek Dawnzera co 8 tygodni, w porównaniu z około 2,3 u pacjentów otrzymujących placebo. Ponadto w badaniu oceniano wpływ leczenia na jakość życia pacjentów za pomocą zatwierdzonego kwestionariusza mierzącego, jak objawy choroby wpływają na codzienne życie. Na podstawie odpowiedzi na ten kwestionariusz wykazano, że lek Dawnzera poprawia, w porównaniu z placebo, jakość życia pacjentów.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Dawnzera

Pełny wykaz działań niepożądanych i ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Dawnzera znajduje się w Ulotce dla pacjenta.

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Dawnzera co 4 tygodnie (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów) to reakcje w miejscu wstrzyknięcia, takie jak rumień (zaczerwienienie skóry), odbarwienie skóry, ból, świąd (swędzenie), stwardnienie, krwiak (gromadzenie się krwi pod skórą), zasinienie, łuszczenie się (złuszczenie się) skóry, nadwrażliwość (reakcje alergiczne) i opuchlizna w miejscu wstrzyknięcia.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Dawnzera w UE

W momencie dopuszczenia leku do obrotu istniała potrzeba zapewnienia bardziej długotrwałego leczenia, które zapobiegałoby przełomowym napadom dziedzicznego obrzęku naczynioruchowego. Wykazano, że lek Dawnzera podawany co 4 tygodnie znacząco zmniejsza liczbę napadów dziedzicznego obrzęku naczynioruchowego w porównaniu z placebo. Ponadto pacjenci otrzymujący lek Dawnzera zgłaszali poprawę jakości życia.

Biorąc pod uwagę potrzebę zapewnienia skutecznego leczenia zapobiegawczego, lek ten można stosować u pacjentów z dowolnym rodzajem dziedzicznego obrzęku naczynioruchowego, mimo że dane dotyczące stosowania leku Dawnzera u pacjentów z prawidłowym stężeniem białka C1-INH są ograniczone.

Dane dotyczące bezpieczeństwa stosowania leku Dawnzera są ograniczone ze względu na rzadkie występowanie choroby. Dostępne dowody wskazują jednak, że działania niepożądane leku Dawnzera są akceptowalne.

Europejska Agencja Leków uznała zatem, że korzyści płynące ze stosowania leku Dawnzera przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Dawnzera

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Dawnzera w Charakterystyce Produktu Leczniczego i w Ulotce dla pacjenta zawarto również zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Dawnzera są stale monitorowane. Podejrzewane działania niepożądane leku Dawnzera są starannie oceniane i podejmowane są wszelkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Dawnzera

Dalsze informacje dotyczące leku Dawnzera znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/dawnzera