



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Dawnzera (*donidalorsen*)

Prezentare generală a Dawnzera și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Dawnzera și pentru ce se utilizează?

Dawnzera este un medicament care se utilizează pentru prevenirea crizelor de angioedem ereditar (umflare) la adulți și adolescenți cu vârsta de 12 ani și peste. Persoanele cu angioedem ereditar au crize de umflare rapidă care pot apărea oriunde în corp, cum ar fi fața, gâtul, brațele, picioarele sau în jurul intestinului. Aceste crize pot pune viața în pericol dacă umflarea la nivelul gâtului apasă pe căile respiratorii.

Dawnzera conține substanța activă donidalorsen.

Cum se utilizează Dawnzera?

Dawnzera se poate obține numai pe bază de prescripție medicală. Tratamentul trebuie inițiat sub supravegherea unui medic cu experiență în diagnosticarea și gestionarea terapeutică a pacienților cu angioedem ereditar.

Dawnzera se administrează sub formă de injecție subcutanată (sub piele) o dată pe lună. Dawnzera se poate administra o dată la 2 luni dacă pacientul nu a avut crize timp de cel puțin 3 luni în timpul tratamentului.

Medicul trebuie să ia în considerare oprirea tratamentului la pacienții cu valori normale ale unei enzime numite inhibitor de esterază C1 (C1-INH), la care incidența crizelor nu s-a redus suficient.

Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Dawnzera, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

Cum acționează Dawnzera?

La persoanele cu angioedem ereditar, concentrațiile în sânge ale unei proteine numite kalikreină sunt anormal de mari. Acest lucru duce la concentrații mari ale unei alte proteine numite bradikinină, care este implicată în crizele de angioedem.

Substanța activă din Dawnzera, donidalorsenul, este o oligonucleotidă antisens, o moleculă mică care vizează ARN-ul mesager (ARNm) care conține instrucțiuni pentru fabricarea prekallikreinei, o proteină

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



necesară pentru producerea kallikreinei. Acest lucru duce la descompunerea ARNm-ului, reducând astfel concentrația în sânge a kalikreinei și bradikininei și, prin urmare, riscul de crize.

Ce beneficii a prezentat Dawnzera pe parcursul studiilor?

Într-un studiu principal s-a demonstrat că Dawnzera reduce semnificativ incidența crizelor la persoanele cu angioedem ereditar în comparație cu placebo (un preparat inactiv).

Studiul principal a cuprins 91 de pacienți cu vârsta de 12 ani și peste, cu angioedem ereditar, cărora li s-a administrat Dawnzera (fie o dată la 4 săptămâni, fie o dată la 8 săptămâni) sau placebo. După 24 de săptămâni, numărul mediu lunar de crize a fost de aproximativ 0,4 la pacienții cărora li s-a administrat Dawnzera o dată la 4 săptămâni și de aproximativ 1 la cei cărora li s-a administrat Dawnzera o dată la 8 săptămâni, față de aproximativ 2,3 la cei cărora li s-a administrat placebo. În plus, studiul a evaluat impactul tratamentului asupra calității vieții pacienților folosind un chestionar validat care măsoară modul în care simptomele bolii afectează viața de zi cu zi a oamenilor. Pe baza răspunsurilor la acest chestionar, s-a demonstrat că Dawnzera îmbunătățește calitatea vieții pacienților, în comparație cu placebo.

Care sunt riscurile asociate cu Dawnzera?

Pentru lista completă a reacțiilor adverse și a restricțiilor asociate cu Dawnzera, citiți prospectul.

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu administrarea Dawnzera o dată la 4 săptămâni (care pot afecta mai mult de 1 persoană din 10) sunt reacții la locul injectării, cum ar fi eritem (înroșirea pielii), decolorare a pielii, durere, prurit (mâncărime), indurație (întărire), hematom (acumulare de sânge sub piele), învinețire, exfoliere (descuamarea pielii), hipersensibilitate (reacții alergice) și umflare la locul injectării.

De ce a fost autorizat Dawnzera în UE?

La momentul aprobării era nevoie de mai multe tratamente de lungă durată care să prevină crizele de angioedem ereditar. S-a demonstrat că Dawnzera, administrat o dată la 4 săptămâni, reduce semnificativ incidența crizelor de angioedem ereditar comparativ cu placebo. În plus, pacienții tratați cu Dawnzera au raportat o îmbunătățire a calității vieții.

Având în vedere necesitatea unor tratamente preventive eficiente, medicamentul poate fi utilizat la pacienții cu orice tip de angioedem ereditar, chiar dacă datele privind utilizarea Dawnzera la pacienții care au concentrații normale ale proteinei C1-INH sunt limitate.

Datele privind siguranța Dawnzera sunt limitate din cauza rarității bolii, dar dovezile disponibile arată că reacțiile adverse la Dawnzera sunt acceptabile.

Prin urmare, Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Dawnzera sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Dawnzera?

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse, de asemenea, recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Dawnzera, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Dawnzera sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse suspectate raportate pentru Dawnzera sunt evaluate cu atenție și sunt luate toate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Dawnzera

Mai multe informații despre Dawnzera se pot găsi pe site-ul agenției:

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