



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Dawnzera (*donidalorsen*)

Prehľad o lieku Dawnzera a prečo bol povolený v EÚ

### Čo je liek Dawnzera a na čo sa používa?

Liek Dawnzera sa používa na prevenciu záchvatov hereditárneho angioedému (opuchu) u osôb vo veku od 12 rokov. U osôb s hereditárnym angioedémom dochádza k záchvatom náhlych opuchov, ktoré sa môžu objaviť kdekoľvek na tele, napríklad na tvári, hrdle, ramenách, nohách alebo v okolí čreva. Tieto záchvaty môžu byť životu nebezpečné, keď opuch okolo hrdla vyvíja tlak na dýchacie cesty.

Liek Dawnzera obsahuje liečivo donidalorsen.

### Ako sa liek Dawnzera používa?

Výdaj lieku Dawnzera je viazaný na lekársky predpis. Liečba sa má začať pod dohľadom lekára, ktorý má skúsenosti s diagnostikou a liečbou pacientov s hereditárnym angioedémom.

Liek Dawnzera sa podáva vo forme injekcie pod kožu jedenkrát mesačne. Liek Dawnzera sa môže podávať jedenkrát za 2 mesiace, ak pacient nemal počas liečby aspoň 3 mesiace žiadne záchvaty.

Lekár by mal zvážiť ukončenie liečby u pacientov, ktorí majú normálnu hladinu enzýmu nazývaného inhibítor C1 esterázy (C1-INH), ak sa počet ich záchvatov dostatočne neznižuje.

Viac informácií o používaní lieku Dawnzera si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárničku.

### Akým spôsobom liek Dawnzera účinkuje?

U ľudí s hereditárnym angioedémom je hladina proteínu nazývaného kalikreín v krvi abnormálne vysoká. To vedie k zvýšeniu hladiny ďalšieho proteínu nazývaného bradykinín, ktorý sa podieľa na záchvatoch angioedému.

Liečivo lieku Dawnzera, donidalorsen, je anti-sense oligonukleotid, malá molekula, ktorá je zacielená na mediátorovú RNA (mRNA) obsahujúcu pokyny na tvorbu prekalikreínu, proteínu potrebného na produkciu kalikreínu. To vedie k rozpadu mRNA, čo znižuje hladinu kalikreínu a bradykinínu v krvi, a tým aj riziko záchvatov.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## **Aké prínosy lieku Dawnzera boli preukázané v štúdiách?**

V hlavnej štúdii sa preukázalo, že liek Dawnzera významne znižuje počet záchvatov u ľudí s hereditárnym angioedémom v porovnaní s placebom (zdanlivým liekom).

Na hlavnej štúdii sa zúčastnilo 91 pacientov vo veku od 12 rokov s hereditárnym angioedémom, ktorí dostávali liek Dawnzera (buď každé 4 týždne, alebo každých 8 týždňov) alebo placebo. Po 24 týždňoch bol priemerný počet záchvatov za mesiac približne 0,4 u pacientov, ktorým sa liek Dawnzera podával každé 4 týždne, a približne 1 u pacientov, ktorým sa liek Dawnzera podával každých 8 týždňov, v porovnaní s približne 2,3 u pacientov, ktorým sa podávalo placebo. Okrem toho sa v štúdii hodnotil vplyv liečby na kvalitu života pacientov pomocou validovaného dotazníka, v ktorom sa zisťovalo, ako príznaky ochorenia ovplyvňujú každodenný život ľudí. Na základe odpovedí v tomto dotazníku sa ukázalo, že liek Dawnzera zlepšuje kvalitu života pacientov v porovnaní s placebom.

## **Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Dawnzera?**

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Dawnzera a zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Dawnzera podávaného každé 4 týždne (ktoré môžu postihnúť viac ako 1 z 10 osôb) sú reakcie v mieste vpichu, ako je erytém (sčervenanie kože), zmena sfarbenia kože, bolesť, pruritus (svrbenie), indurácia (stvrdnutie), hematóm (nahromadenie krvi pod kožou), modriny, exfoliácia (olupovanie kože), precitlivenosť (alergické reakcie) a opuch v mieste podania injekcie.

## **Prečo bol liek Dawnzera povolený v EÚ?**

V čase povolenia lieku existovala potreba dlhodobejšej liečby, ktorá by zabránila prepuknutiu záchvatov hereditárneho angioedému. Ukázalo sa, že liek Dawnzera podávaný každé 4 týždne významne znižuje počet záchvatov hereditárneho angioedému v porovnaní s placebom. Okrem toho, pacienti liečení liekom Dawnzera uvádzali zlepšenie kvality života.

Vzhľadom na potrebu účinnej preventívnej liečby sa liek môže používať u pacientov s akýmkoľvek typom hereditárneho angioedému, aj keď údaje o použití lieku Dawnzera u pacientov, ktorí majú normálne hladiny proteínu C1-INH, sú obmedzené.

Údaje o bezpečnosti lieku Dawnzera sú obmedzené vzhľadom na zriedkavosť ochorenia; z dostupných dôkazov však vyplýva, že vedľajšie účinky lieku Dawnzera sú prijateľné.

Európska agentúra pre lieky preto rozhodla, že prínosy lieku Dawnzera sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a že môže byť povolený na používanie v EÚ.

## **Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Dawnzera?**

Na bezpečné a účinné používanie lieku Dawnzera boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté aj odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Dawnzera sa neustále kontrolujú. Podozrenia na vedľajšie účinky hlásené pri lieku Dawnzera sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

## Ďalšie informácie o lieku Dawnzera

Ďalšie informácie o lieku Dawnzera sa nachádzajú na webovej stránke agentúry:  
[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/dawnzera](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/dawnzera)