



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Dawnzera (*donidalorsen*)

Pregled zdravila Dawnzera in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Dawnzera in za kaj se uporablja?

Dawnzera je zdravilo, ki se uporablja za preprečevanje napadov hereditarnega angioedema (otekanja) pri ljudeh, starejših od 12 let. Osebe s hereditarnim angioedemom imajo napade hitrega otekanja, ki se lahko pojavi kjer koli na telesu, na primer na obrazu, grlu, rokah, nogah ali okoli črevesja. Ti napadi so lahko smrtno nevarni, kadar otekanje okoli grla pritiska na dihalne poti.

Zdravilo Dawnzera vsebuje učinkovino donidalorsen.

Kako se zdravilo Dawnzera uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila Dawnzera je le na recept. Zdravljenje je treba uvesti pod nadzorom zdravnika, ki ima izkušnje z diagnosticiranjem in zdravljenjem bolnikov s hereditarnim angioedemom.

Zdravilo Dawnzera se daje v obliki injekcije v podkožje enkrat mesečno. Daje se lahko enkrat na dva meseca, če bolnik med zdravljenjem ni imel napadov vsaj tri mesece.

Zdravnik mora razmisliti o prekinitvi zdravljenja pri bolnikih, ki imajo normalne ravni encima, imenovanega zaviralec esteraze C1 (C1-INH), če se število napadov, ki jih doživljajo, ne zmanjša dovolj.

Za več informacij glede uporabe zdravila Dawnzera glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Kako zdravilo Dawnzera deluje?

Pri ljudeh s hereditarnim angioedemom so ravni beljakovine, imenovane kalikrein, v krvi nenormalno visoke. To povzroči zvišane ravni druge beljakovine, imenovane bradikinin, ki sodeluje pri napadih angioedema.

Učinkovina v zdravilu Dawnzera, donidalorsen, je protismiselni oligonukleotid, majhna molekula, ki je usmerjena proti sporočilni RNK (mRNK), ki vsebuje navodila za izdelavo prekalikreina, tj. beljakovine, potrebne za tvorbo kalikreina. To povzroči razgradnjo mRNK, kar zniža raven kalikreina in bradikinina v krvi ter s tem tveganje za napade.

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



Kakšne koristi zdravila Dawnzera so se pokazale v študijah?

V glavni študiji je bilo dokazano, da zdravilo Dawnzera pomembno zmanjša število napadov pri ljudeh s hereditarnim angioedemom v primerjavi s placebom (zdravilom brez učinkovine).

V glavno študijo je bilo vključenih 91 bolnikov, starejših od 12 let, s hereditarnim angioedemom, ki so prejeli zdravilo Dawnzera (bodisi vsake 4 tedne bodisi vsakih 8 tednov) ali placebo. Po 24 tednih je bilo povprečno število napadov na mesec približno 0,4 napada pri bolnikih, ki so prejeli zdravilo Dawnzera vsake 4 tedne, in približno en napad pri bolnikih, ki so prejeli zdravilo Dawnzera vsakih 8 tednov, v primerjavi s približno 2,3 napada pri bolnikih, ki so prejeli placebo. Poleg tega je bil v študiji ocenjen vpliv zdravljenja na kakovost življenja bolnikov z uporabo potrjenega vprašalnika, ki meri, kako simptomi bolezni vplivajo na vsakdanje življenje ljudi. Na podlagi odgovorov na ta vprašalnik so dokazali, da zdravilo Dawnzera izboljšuje kakovost življenja bolnikov v primerjavi s placebom.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Dawnzera?

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Dawnzera glejte navodilo za uporabo.

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Dawnzera, ki se uporablja vsake štiri tedne (ki se lahko pojavijo pri več kot 1 od 10 bolnikov), so reakcije na mestu injiciranja, kot so eritem (pordelost kože), sprememba barve kože, bolečina, pruritus (srbenje), induracija (otrdelost), hematoma (zbiranje krvi pod kožo), podplutbe, ekfoliacija (luščenje kože), preobčutljivost (alergijske reakcije) in oteklina na mestu injiciranja.

Zakaj je bilo zdravilo Dawnzera odobreno v EU?

V času odobritve zdravila je obstajala potreba po dolgoročnejših načinih zdravljenja, ki bi preprečevali prebojne napade hereditarnega angioedema. Dokazano je bilo, da zdravilo Dawnzera, ki se daje vsake štiri tedne, v primerjavi s placebom pomembno zmanjša število teh napadov. Poleg tega so bolniki, zdravljeni z zdravilom Dawnzera, poročali o izboljšanju kakovosti življenja.

Glede na potrebo po učinkovitih preventivnih zdravljenjih se zdravilo lahko uporablja pri bolnikih s katero koli vrsto hereditarnega angioedema, čeprav so podatki o uporabi zdravila Dawnzera pri bolnikih z normalnimi ravni beljakovine C1-INH omejeni.

Podatki o varnosti zdravila Dawnzera so omejeni zaradi redkosti bolezni, vendar razpoložljivi dokazi kažejo, da so njegovi neželeni učinki sprejemljivi.

Evropska agencija za zdravila je zato zaključila, da so koristi zdravila Dawnzera večje od z njim povezanih tveganj in da se lahko odobri za uporabo v EU.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Dawnzera?

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Dawnzera upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni tudi v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Dawnzera stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Dawnzera, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Dawnzera

Nadaljnje informacije za zdravilo Dawnzera so na voljo na spletni strani agencije:

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