



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Dawnzera (*donidalorsen*)

Sammanfattning av Dawnzera och varför det är godkänt inom EU

Vad är Dawnzera och vad används det för?

Dawnzera är ett läkemedel som används för att förebygga anfall av hereditärt angioödem (svullnad) hos personer från 12 års ålder. Personer med hereditärt angioödem har snabba svullnadsanfall som kan uppstå var som helst på/i kroppen, såsom ansiktet, halsen, armarna, benen eller runt om tarmarna. Dessa anfall kan vara livshotande när svullnaden runt halsen pressar mot luftvägarna.

Dawnzera innehåller den aktiva substansen donidalorsen.

Hur används Dawnzera?

Dawnzera är receptbelagt. Behandlingen ska inledas under överinseende av en läkare med erfarenhet av diagnos och behandling av patienter med hereditärt angioödem.

Dawnzera ges som en injektion under huden en gång i månaden. Dawnzera kan ges en gång varannan månad om patienten inte har haft några anfall under en period på minst tre behandlingsmånader.

Läkaren bör överväga att avbryta behandlingen hos patienter som uppvisar normala nivåer av enzymet C1-esterashämmare (C1-INH) om inte antalet anfall minskas tillräckligt.

För mer information om hur du använder Dawnzera, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

Hur verkar Dawnzera?

Hos personer med hereditärt angioödem är nivåerna i blodet av proteinet kallikrein onormalt höga. Detta leder till förhöjda nivåer av ett annat protein, bradykinin, som medverkar till uppkomsten av angioödemanfall.

Den aktiva substansen i Dawnzera, donidalorsen, är en antisensoligonukleotid, en liten molekyl som är inriktad mot budbärar-RNA (mRNA) och som innehåller instruktioner om att tillverka prekallikrein, ett protein som behövs för att framställa kallikrein. Detta leder till att mRNA bryts ner, vilket minskar nivån av kallikrein och bradykinin i blodet och därmed risken för anfall.

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



Vilka fördelar med Dawnzera har visats i studierna?

En huvudstudie har visat att Dawnzera på ett signifikant sätt minskar antalet anfall hos personer med arvetärt angioödem jämfört med placebo (överksam behandling).

I huvudstudien ingick 91 patienter från 12 års ålder med arvetärt angioödem som fick Dawnzera (antingen var fjärde eller var åttonde vecka) eller placebo. Efter 24 veckor var det genomsnittliga antalet anfall per månad cirka 0,4 hos de patienter som fick Dawnzera var fjärde vecka och cirka 1 hos dem som fick Dawnzera var åttonde vecka, jämfört med cirka 2,3 anfall hos dem som fick placebo. I studien bedömdes dessutom behandlingens inverkan på patienternas livskvalitet med hjälp av ett validerat frågeformulär som mäter hur sjukdomssymtomen påverkar människors dagliga liv. Baserat på svaren på detta frågeformulär visade sig Dawnzera förbättra patienternas livskvalitet jämfört med placebo.

Vilka är riskerna med Dawnzera?

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Dawnzera finns i bipacksedeln.

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Dawnzera när det tas var fjärde vecka (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare) är reaktioner på injektionsstället såsom erytem (hudrodnad), missfärgning, smärta, pruritus (klåda), förhårdnad, hematom (blodansamling under huden), blåmärken, exfoliation (hudflagning), överkänslighet (allergiska reaktioner) och svullnad på injektionsstället.

Varför är Dawnzera godkänt i EU?

Vid tidpunkten för godkännandet fanns det ett behov av mer långsiktiga behandlingar för att förhindra genombrottsanfall av arvetärt angioödem. Dawnzera som ges var fjärde vecka har visat sig signifikant minska antalet anfall av arvetärt angioödem jämfört med placebo. Dessutom rapporterade patienter som behandlades med Dawnzera en förbättring av deras livskvalitet.

Med tanke på behovet av effektiva förebyggande behandlingar kan läkemedlet ges till patienter med alla typer av arvetärt angioödem, även om uppgifterna om användningen av Dawnzera hos patienter med normala nivåer av proteinet C1-INH är begränsade.

Uppgifterna om Dawnzeras säkerhet är begränsade eftersom sjukdomen är sällsynt. De tillgängliga beläggen visar dock att Dawnzeras biverkningar är godtagbara.

Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann därför att fördelarna med Dawnzera är större än riskerna och att Dawnzera kan godkännas för försäljning i EU.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Dawnzera?

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Dawnzera har också tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Dawnzera kontinuerligt. Misstänkta biverkningar som har rapporterats för Dawnzera utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

Mer information om Dawnzera

Mer information om Dawnzera finns på EMA:s webbplats:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/dawnzera.