



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/192967/2025
EMA/H/C/006427

Ezmekly (*mirdametinib*)

Общ преглед на Ezmekly и основания за разрешаване в ЕС

Какво представлява Ezmekly и за какво се използва?

Ezmekly е лекарство, което се използва за лечение на плексиформни неврофиброми — доброкачествени (неракови) тумори, които се развиват по нервите при възрастни и деца на възраст 2 и повече години с неврофиброматоза тип 1 (NF1). Използва се, когато туморите причиняват симптоми (напр. болка и слабост) и не могат да бъдат отстранени по хирургичен път.

Неврофиброматозата се счита за рядко заболяване и Ezmekly е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) на 25 юли 2019 г. Допълнителна информация за лекарствата сираци можете да намерите на [уебсайта](#) на EMA.

Ezmekly съдържа активното вещество мирдаметиниб (*mirdametinib*).

Как се използва Ezmekly?

Ezmekly се отпуска по лекарско предписание и лечението трябва да се започне от лекар с опит в диагностицирането и лечението на пациенти с тумори, причинени от NF1.

Ezmekly се предлага под формата на капсули за поглъщане или диспергиращи се таблетки, които могат да бъдат диспергирани във вода. Приема се два пъти дневно през интервал от 12 часа. Пациентите приемат лекарството в продължение на 3 седмици, след което спират в продължение на 1 седмица. Този цикъл се повтаря до влошаване на заболяването или докато нежеланите реакции станат неприемливи.

За повече информация относно употребата на Ezmekly вижте листовката или се свържете с вашия лекар или фармацевт.

Как действа Ezmekly?

Активното вещество в Ezmekly, мирдаметиниб, е малка молекула, която действа чрез блокиране на протеин, наречен MEK, който помага да се контролира растежът и оцеляването на клетките. При хора с NF1 MEK е свръхактивен, което води до растеж на плексиформни неврофиброми по нервните клетки. Като блокира MEK, мирдаметиниб помага за намаляване на размера на тези тумори.

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



Какви ползи от Ezmekly са установени в проучванията?

Едно основно проучване обхваща 114 пациенти на възраст 2 години и повече с плексиформни неврофиброми, причинени от NF1, чиито тумори не могат да бъдат отстранени по хирургичен път и причиняват симптоми. В това проучване Ezmekly не е сравнен с друго лечение или плацебо (сляпо лечение).

Основната мярка за ефективност е делът на пациентите, които се повлияват от лечението с Ezmekly. Счита се, че пациентите са се повлияли, когато няма признаци на тумори (пълно повлияване) или ако размерът на туморите намалее с най-малко 20 % (частично повлияване), а повлияването се запазва най-малко 2 до 6 месеца.

При децата 52 % (29 от 56) са дали частичен отговор. От тях 90 % са запазили отговора си в продължение на най-малко 12 месеца, а 48 % — в продължение на най-малко 24 месеца.

При възрастни 41 % (24 от 58) са имали частичен отговор. От тях 88 % са запазили отговора си в продължение на най-малко 12 месеца, а 50 % — в продължение на най-малко 24 месеца.

Какви са рисковете, свързани със Ezmekly?

За пълния списък на нежеланите реакции и ограниченията при Ezmekly вижте листовката.

При възрастни най-честите нежелани реакции при Ezmekly (които може да засегнат повече от 1 на 3 души) включват акнеиформен дерматит (възпаление на кожата, наподобяващо акне), диария, гадене (позиви за повръщане), повишени нива на ензима креатин фосфокиназа в кръвта, мускулно-скелетна болка (болка в мускулите и костите), повръщане и умора. Нежеланите реакции при Ezmekly могат да бъдат сериозни. Най-честите (които може да засегнат не повече от 1 на 10 души) включват абдоминална (коремна) болка, мускулно-скелетна болка и ретинална венозна оклузия (блокиране на кръвния поток във вена на ретината, светлочувствителната мембрана в задната част на окото).

При деца най-честите нежелани реакции при Ezmekly (които може да засегнат повече от 1 на 3 души) включват повишени нива на креатин фосфокиназа в кръвта, диария, акнеиформен дерматит, мускулно-скелетна болка, коремна болка, повръщане и главоболие. Сериозните нежелани реакции (които може да засегнат не повече от 1 на 10 души) включват мускулно-скелетна болка.

Защо Ezmekly е разрешен за употреба в ЕС?

Към момента на одобряването само едно лекарство е разрешено за употреба в ЕС за плексиформни неврофиброми при деца на възраст три години и повече с NF1. Ezmekly предоставя допълнителна възможност за лечение и е доказано, че е ефективен при деца от малко по-ниска възраст — две години — и при възрастни. Степента на ползите от него обаче е несигурна, тъй като лекарството не е сравнено с друго лечение или плацебо, а пациентите са проследявани в продължение на по-малко от 3 години.

По отношение на безопасността повечето нежелани реакции, наблюдавани при Ezmekly, са леки до умерени. Някои редки, но сериозни нежелани реакции обаче могат да засегнат очите и сърцето. Съществуват неясноти относно това дали лекарството би могло да увреди ДНК и потенциално да допринесе за развитието на рака. Това е разяснено чрез подходящо предупреждение в информацията за продукта. Съществуват и неясноти по отношение на дългосрочната безопасност на Ezmekly.

Ezmekly е разрешен за употреба по т.нар. схема „разрешаване под условие“. Това означава, че е разрешен въз основа на по-малко изчерпателни данни от обичайно изискваните, тъй като отговаря на неудовлетворена медицинска потребност. Агенцията счита, че ползите от по-ранното предлагане на лекарството са по-големи от рисковете, свързани с употребата му, в периода на изчакване на допълнителни данни.

Освен това фирмата трябва да предостави допълнителни данни за Ezmekly. Тя трябва да предостави дългосрочни резултати от основното проучване на безопасността и ефективността на лекарството, както и резултати от проучване за оценка на неговата безопасност, когато се използва в клиничната практика. Всяка година Агенцията ще извършва преглед на новата информация.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Ezmekly?

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Ezmekly, които следва да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Както при всички лекарства, данните във връзка с употребата на Ezmekly непрекъснато се проследяват. Съобщените нежелани реакции, свързани с употребата на Ezmekly, внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

Допълнителна информация за Ezmekly:

Допълнителна информация за Ezmekly можете да намерите на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Ezmekly.

Дата на последно актуализиране на текста 07-2025.