



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ezmekly (*mirdametinib*)

Přehled pro přípravek Ezmekly a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Ezmekly a k čemu se používá?

Ezmekly je léčivý přípravek, který se používá k léčbě plexiformních neurofibromů, což jsou benigní (nezhoubné) nádory, které vyrůstají podél nervů u dospělých a dětí ve věku od 2 let s neurofibromatózou typu 1. Používá se tehdy, pokud nádory vyvolávají příznaky (např. bolest a slabost) a nelze je odstranit chirurgicky.

Neurofibromatóza je vzácné onemocnění a přípravek Ezmekly byl označen dne 25. července 2019 jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete na [internetových stránkách](#) agentury EMA.

Přípravek Ezmekly obsahuje léčivou látku mirdametinib.

Jak se přípravek Ezmekly používá?

Výdej přípravku Ezmekly je vázán na lékařský předpis. Léčbu by měl zahájit lékař, který má zkušenosti s diagnostikou a léčbou pacientů s nádory způsobenými neurofibromatózou typu 1.

Přípravek Ezmekly je dostupný ve formě tobolek ke spolknutí nebo dispergovatelných tablet, které lze rozpustit ve vodě. Užívá se dvakrát denně s odstupem 12 hodin. Pacienti užívají přípravek po dobu 3 týdnů a poté jej na 1 týden vysadí. Tento cyklus se opakuje, dokud nedojde ke zhoršení onemocnění nebo se neobjeví nepřijatelné nežádoucí účinky.

Více informací o používání přípravku Ezmekly naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Jak přípravek Ezmekly působí?

Léčivá látka v přípravku Ezmekly, mirdametinib, je malá molekula, která působí tak, že blokuje bílkovinu zvanou MEK, která pomáhá kontrolovat růst a přežití buněk. U osob s neurofibromatózou typu 1 je MEK nadměrně aktivní, což vede k růstu plexiformních neurofibromů na nervových buňkách. Blokováním MEK pomáhá mirdametinib tyto nádory zmenšovat.

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



Jaké přínosy přípravku Ezmekly byly prokázány v průběhu studií?

Do hlavní studie bylo zařazeno 114 pacientů ve věku od 2 let s plexiformními neurofibromy způsobenými neurofibromatózou typu 1, jejichž nádory nebylo možné odstranit chirurgicky a vyvolávaly příznaky. V této studii nebyl přípravek Ezmekly porovnáván s žádnou jinou léčbou ani s placebem (neúčinným přípravkem).

Hlavním měřítkem účinnosti byl podíl pacientů, kteří reagovali na léčbu přípravkem Ezmekly. Za pacienty reagující na léčbu byli považováni pacienti, kteří nevykazovali žádné známky nádorů (úplná odpověď) nebo u kterých došlo ke zmenšení nádorů o nejméně 20 % (částečná odpověď) a u kterých odpověď na léčbu přetrvala po dobu nejméně 2 až 6 měsíců.

U dětí byla částečná odpověď zaznamenána u 52 % (29 z 56) osob. U 90 % z nich odpověď přetrvala po dobu nejméně 12 měsíců a u 48 % po dobu nejméně 24 měsíců.

U dospělých byla částečná odpověď zaznamenána u 41 % (24 z 58) osob. U 88 % z nich odpověď přetrvala po dobu nejméně 12 měsíců a u 50 % po dobu nejméně 24 měsíců.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Ezmekly?

Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení přípravku Ezmekly je uveden v příbalové informaci.

U dospělých jsou nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Ezmekly (které mohou postihnout více než 1 osobu ze 3) akneiformní dermatitida (zánět kůže připomínající akné), průjem, nauzea (pocit na zvracení), zvýšené hladiny enzymu kreatinkinázy v krvi, muskuloskeletální bolest (bolest svalů a kostí), zvracení a únava. Nežádoucí účinky přípravku Ezmekly mohou být závažné. Nejčastějšími závažnými nežádoucími účinky (které mohou postihnout až 1 osobu z 10) jsou bolest břicha, muskuloskeletální bolest a okluze retinální žíly (ucpání průtoku krve v žíle sítnice, což je na světlo citlivá membrána v zadní části oka).

U dětí jsou nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Ezmekly (které mohou postihnout více než 1 osobu ze 3) zvýšené hladiny kreatinkinázy v krvi, průjem, akneiformní dermatitida, muskuloskeletální bolest, bolest břicha, zvracení a bolest hlavy. Závažným nežádoucím účinkem (který může postihnout až 1 osobu z 10) je muskuloskeletální bolest.

Na základě čeho byl přípravek Ezmekly registrován v EU?

V době schválení byl v EU registrován k léčbě plexiformních neurofibromů u dětí ve věku od 3 let s neurofibromatózou typu 1 pouze jeden léčivý přípravek. Přípravek Ezmekly představuje další možnost léčby. Bylo prokázáno, že je účinný u dětí od nepatrně nižšího věku (od 2 let) a u dospělých. Rozsah jeho přínosů je však nejistý, neboť nebyl porovnáván s žádnou jinou léčbou ani s placebem a pacienti byli sledováni po dobu kratší 3 let.

Pokud jde o bezpečnost, většina nežádoucích účinků pozorovaných u přípravku Ezmekly byla mírná až středně závažná. Některé vzácné, ale závažné nežádoucí účinky však mohou postihnout oči a srdce. Existují nejasnosti ohledně toho, zda by přípravek mohl poškodit DNA a případně přispět k rozvoji nádorového onemocnění, na což poukazuje odpovídající upozornění v informacích o přípravku. Existují také nejasnosti ohledně dlouhodobé bezpečnosti přípravku Ezmekly.

Přípravku Ezmekly byla udělena podmíněná registrace. Znamená to, že byl schválen na základě méně komplexních údajů, než je obvykle požadováno, protože splňuje nenaplněnou léčebnou potřebu. Agentura se domnívá, že přínos toho, že je přípravek k dispozici dříve, převyšuje veškerá rizika spojená s jeho používáním, zatímco se očekávají další poznatky.

Kromě toho musí společnost předložit další údaje o přípravku Ezmekly. Musí předložit dlouhodobé výsledky hlavní studie bezpečnosti a účinnosti přípravku, jakož i výsledky studie hodnotící jeho bezpečnost při použití v klinické praxi. Agentura každoročně vyhodnotí jakékoli nové informace.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Ezmekly?

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Ezmekly, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienti.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Ezmekly průběžně sledovány. Podezření na nežádoucí účinky nahlášená v souvislosti s přípravkem Ezmekly jsou pečlivě hodnocena a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

Další informace o přípravku Ezmekly

Další informace o přípravku Ezmekly jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Ezmekly.

Tento přehled byl naposledy aktualizován v 07-2025.