



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ezmekly (*mirdametinib*)

En oversigt over Ezmekly, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Ezmekly, og hvad anvendes det til?

Ezmekly er et lægemiddel, der anvendes til behandling af plexiforme neurofibromer, som er godartede tumorer, der vokser langs nerver hos voksne og børn i alderen 2 år og derover med neurofibromatose type 1 (NF1). Det anvendes, når tumorerne forårsager symptomer (f.eks. smerter og svaghed) og ikke kan fjernes ved operation.

Neurofibromatosis er sjælden, og Ezmekly blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 25. juli 2019. Yderligere information om lægemidler til sjældne sygdomme findes på EMA's [websted](#).

Ezmekly indeholder det aktive stof mirdametinib.

Hvordan anvendes Ezmekly?

Ezmekly fås kun på recept, og behandlingen bør iværksættes af en læge, der har erfaring med diagnosticering og behandling af patienter med tumorer forårsaget af NF1.

Ezmekly fås som kapsler, der skal sluges, eller dispergerbare tabletter, der kan opløses i vand. Det tages to gange dagligt med 12 timers mellemrum. Patienterne tager lægemidlet i 3 uger og stopper derefter i 1 uge. Denne cyklus gentages, indtil sygdommen forværres, eller bivirkningerne bliver uacceptable.

Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Ezmekly, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

Hvordan virker Ezmekly?

Det aktive stof i Ezmekly, mirdametinib, er et lille molekyle, der virker ved at blokere et protein kaldet MEK, der medvirker til at kontrollere, hvordan celler vokser og overlever. Hos personer med NF1 er MEK overaktivt, hvilket medfører vækst af plexiforme neurofibromer på nervecellerne. Ved at blokere MEK bidrager mirdametinib til at mindske disse tumorer.

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



Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Ezmekly?

Et hovedstudie omfattede 114 patienter i alderen 2 år og derover med plexiforme neurofibromer forårsaget af NF1, hvis tumorer ikke kunne fjernes ved operation og forårsagede symptomer. I dette studie blev Ezmekly ikke sammenlignet med nogen anden behandling eller placebo (en uvirksom behandling).

Virkingen blev hovedsagelig bedømt på andelen af patienter, der responderede på behandlingen med Ezmekly. Patienterne blev anset for at have responderet, når der ikke var tegn på tumorer (fuldstændig respons), eller hvis tumorerne blev mindsket med mindst 20 % i størrelse (delvis respons), og responsen blev opretholdt i mindst 2-6 måneder.

Hos børn udviste 52 % (29 ud af 56) delvis respons. Blandt disse fastholdt 90 % deres respons i mindst 12 måneder, og 48 % i mindst 24 måneder.

Hos voksne udviste 41 % (24 ud af 58) delvis respons. Blandt disse fastholdt 88 % deres respons i mindst 12 måneder, og 50 % i mindst 24 måneder.

Hvilke risici er der forbundet med Ezmekly?

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Ezmekly fremgår af indlægssedlen.

Hos voksne er de mest almindelige bivirkninger ved Ezmekly (som kan forekomme hos mere end 1 ud af 3 personer) dermatitis acneiform (betændelse i huden, der ligner acne), diarré, kvalme, forhøjet indhold i blodet af enzymet kreatinkinase, smerter i muskler og knogler, opkastning og træthed.

Bivirkningerne ved Ezmekly kan være alvorlige. De mest almindelige (som kan forekomme hos op til 1 ud af 10 personer) er mavesmerter, smerter i muskler og knogler og retinal veneokklusion (en blokering af blodgennemstrømningen i en vene i nethinden, den lysfølsomme membran bagerst i øjet).

Hos børn omfatter de mest almindelige bivirkninger ved Ezmekly (som kan forekomme hos mere end 1 ud af 3 personer) forhøjede niveauer i blodet af kreatinkinase, diarré, dermatitis acneiform, smerter i muskler og knogler, mavesmerter, opkastning og hovedpine. Alvorlige bivirkninger (som kan forekomme hos op til 1 ud af 10 personer) omfatter smerter i bevægeapparatet.

Hvorfor er Ezmekly godkendt i EU?

På godkendelsestidspunktet var der kun godkendt ét lægemiddel i EU til plexiforme neurofibromer til børn på tre år og derover med NF1. Ezmekly giver en yderligere behandlingsmulighed og har vist sig at være effektivt hos børn fra en lidt yngre alder – to år – og hos voksne. Omfanget af dets fordele er imidlertid usikkert, da lægemidlet ikke er blevet sammenlignet med nogen anden behandling eller placebo, og patienterne blev fulgt i mindre end 3 år.

Med hensyn til sikkerheden var de fleste bivirkninger ved Ezmekly mild til moderate. Visse sjældne, men alvorlige bivirkninger kan imidlertid påvirke øjnene og hjertet. Der er usikkerhed om, hvorvidt lægemidlet kan skade DNA og potentielt bidrage til udviklingen af kræft. Dette håndteres ved hjælp af en passende advarsel i produktinformationen. Der er også usikkerhed om sikkerheden ved Ezmekly på lang sigt.

Ezmekly har fået betinget godkendelse. Det betyder, at det er blevet godkendt på grundlag af mindre omfattende data, end der normalt kræves, fordi det opfylder et udækket medicinsk behov. Agenturet mener, at fordelene ved at gøre lægemidlet tilgængeligt på et tidligere tidspunkt opvejer eventuelle risici forbundet med dets anvendelse, mens der afventes yderligere dokumentation.

Desuden skal virksomheden fremlægge yderligere data om Ezmekly. Den skal fremlægge langsigtede resultater fra hovedstudiet om lægemidlets sikkerhed og virkning samt resultater fra et studie, der vurderer dets sikkerhed, når det anvendes i klinisk praksis. Hvert år gennemgår agenturet alle nye oplysninger, der bliver tilgængelige.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre, at Ezmekly anvendes sikkert og effektivt?

Der er anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre, at Ezmekly anvendes sikkert og effektivt.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende anvendelsen af Ezmekly løbende overvåget. De formodede bivirkninger ved Ezmekly vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Øvrig information om Ezmekly

Yderligere information om Ezmekly findes på agenturets websted under:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Ezmekly.

Denne oversigt blev sidst ajourført i 07-2025.