



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ezmekly (*Mirdametinib*)

Übersicht über Ezmekly und warum es in der EU zugelassen ist

Was ist Ezmekly und wofür wird es angewendet?

Ezmekly ist ein Arzneimittel zur Behandlung plexiformer Neurofibrome, gutartiger (nicht kanzeröser) Tumoren, die entlang der Nerven wachsen, bei Erwachsenen und Kindern mit Neurofibromatose (NF1) Typ 1 ab einem Alter von 2 Jahren. Es wird angewendet, wenn die Tumoren Symptome (wie Schmerzen und Schwäche) verursachen und nicht operativ entfernt werden können.

Neurofibromatose ist selten, und Ezmekly wurde am 25. Juli 2019 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen. Weitere Informationen zur Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden finden Sie auf den [Internetseiten](#) der EMA.

Ezmekly enthält den Wirkstoff Mirdametinib.

Wie wird Ezmekly angewendet?

Ezmekly ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich, und die Behandlung sollte von einem Arzt eingeleitet werden, der über Erfahrung mit der Diagnose und Behandlung von Patienten mit durch NF1 verursachten Tumoren verfügt.

Ezmekly ist als Kapseln zum Einnehmen oder als Tabletten zur Herstellung einer Suspension zum Einnehmen erhältlich, die in Wasser aufgelöst werden können. Es wird zweimal täglich im Abstand von 12 Stunden eingenommen. Die Patienten nehmen das Arzneimittel 3 Wochen lang ein und setzen es dann 1 Woche lang ab. Dieser Zyklus wird so lange fortgesetzt, bis sich die Erkrankung verschlechtert oder die Nebenwirkungen nicht mehr akzeptabel sind.

Weitere Informationen zur Anwendung von Ezmekly entnehmen Sie der Packungsbeilage, oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Wie wirkt Ezmekly?

Der Wirkstoff in Ezmekly, Mirdametinib, ist ein kleines Molekül, das ein Protein namens MEK blockiert, das dazu beiträgt, das Wachstum und Überleben der Zellen zu kontrollieren. Bei Personen mit NF1 ist MEK überaktiv, was zum Wachstum von plexiformen Neurofibromen auf Nervenzellen führt. Durch das Blockieren von MEK trägt Mirdametinib zum Schrumpfen dieser Tumoren bei.

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



Welchen Nutzen hat Ezmekly in den Studien gezeigt?

An einer Hauptstudie nahmen 114 Patienten ab einem Alter von 2 Jahren mit durch NF1 verursachten plexiformen Neurofibromen teil, deren Tumoren nicht operativ entfernt werden konnten und Symptome verursachten. In dieser Studie wurde Ezmekly nicht mit einer anderen Behandlung oder mit Placebo (einer Scheinbehandlung) verglichen.

Der Hauptindikator für die Wirksamkeit war der Anteil der Patienten, die auf die Behandlung mit Ezmekly ansprachen. Die Patienten wurden als auf die Behandlung ansprechend angesehen, wenn keine Anzeichen von Tumoren vorlagen (vollständiges Ansprechen) oder wenn die Tumoren um mindestens 20 % schrumpften (teilweises Ansprechen) und das Ansprechen mindestens 2 bis 6 Monate lang anhielt.

52 % der Kinder (29 von 56) wiesen ein teilweises Ansprechen auf. Von diesen Patienten konnten 90 % ihr Ansprechen mindestens 12 Monate und 48 % mindestens 24 Monate lang aufrecht erhalten.

41 % der Erwachsenen (24 von 58) wiesen ein teilweises Ansprechen auf. Von diesen Patienten konnten 88 % ihr Ansprechen mindestens 12 Monate und 50 % mindestens 24 Monate lang aufrecht erhalten.

Welche Risiken sind mit Ezmekly verbunden?

Die vollständige Auflistung der Nebenwirkungen und Einschränkungen im Zusammenhang mit Ezmekly ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Sehr häufige Nebenwirkungen von Ezmekly (die mehr als 1 von 3 Behandelten betreffen können) sind akneiforme Dermatitis (akneähnliche Entzündung der Haut), Durchfall, Übelkeit, erhöhte Blutspiegel des Enzyms Kreatinphosphokinase, Schmerzen des Muskel- und Skelettsystems (Schmerzen in den Muskeln und Knochen), Erbrechen und Müdigkeit. Die Nebenwirkungen von Ezmekly können schwerwiegend sein. Die häufigsten Nebenwirkungen (die bis zu 1 von 10 Behandelten betreffen können) sind Bauchschmerzen, Schmerzen des Muskel- und Skelettsystems und retinaler Venenverschluss (eine Blockade des Blutflusses in einer Vene der Netzhaut, der lichtempfindlichen Membran am Augenhintergrund).

Bei Kindern waren sehr häufige Nebenwirkungen (die mehr als 1 von 3 Behandelten betreffen können) erhöhte Blutspiegel des Enzyms Kreatinphosphokinase, Durchfall, akneiforme Dermatitis, Schmerzen des Muskel- und Skelettsystems, Bauchschmerzen, Erbrechen und Kopfschmerzen. Zu den schwerwiegenden Nebenwirkungen (die bis zu 1 von 10 Behandelten betreffen können) gehören Schmerzen des Muskel- und Skelettsystems.

Warum wurde Ezmekly in der EU zugelassen?

Zum Zeitpunkt der Zulassung war in der EU nur ein Arzneimittel zur Behandlung von plexiformen Neurofibromen bei Kindern ab einem Alter von drei Jahren mit NF1 zugelassen. Ezmekly bietet eine zusätzliche Behandlungsoption und hat sich bei Kindern ab einem etwas jüngeren Alter (zwei Jahre) und bei Erwachsenen als wirksam erwiesen. Das Ausmaß seines Nutzens ist jedoch ungewiss, da das Arzneimittel nicht mit einer anderen Behandlung oder mit Placebo verglichen wurde und die Patienten weniger als 3 Jahre lang nachbeobachtet wurden.

In Bezug auf die Sicherheit waren die meisten im Zusammenhang mit Ezmekly beobachteten Nebenwirkungen leicht bis mittelschwer. Einige seltene, aber schwerwiegende Nebenwirkungen können jedoch die Augen und das Herz betreffen. Es ist unklar, ob das Arzneimittel die DNA schädigen und potenziell zur Entwicklung von Krebs beitragen könnte. Dem wird durch einen angemessenen

Warnhinweis in der Produktinformation Rechnung getragen. Es bestehen auch Unsicherheiten in Bezug auf die Langzeitsicherheit von Ezmekly.

Ezmekly wurde unter „besonderen Bedingungen“ zugelassen. Dies bedeutet, dass die Zulassung auf der Grundlage weniger umfassender Daten erteilt wurde, als normalerweise erforderlich sind, weil es eine Behandlungslücke schließt. Die Agentur ist der Auffassung, dass der Nutzen einer früheren Verfügbarkeit des Arzneimittels gegenüber den Risiken seiner Anwendung überwiegt, während auf weitere Nachweise gewartet wird.

Darüber hinaus muss das Unternehmen weitere Daten zu Ezmekly vorlegen. Es muss langfristige Ergebnisse aus der Hauptstudie zur Sicherheit und Wirksamkeit des Arzneimittels sowie Ergebnisse aus einer Studie zur Beurteilung seiner Sicherheit bei Anwendung in der klinischen Praxis vorlegen. Die Agentur wird jedes Jahr sämtliche neuen Informationen prüfen, die verfügbar werden.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Ezmekly ergriffen?

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Ezmekly, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Wie bei allen Arzneimitteln werden Daten zur Anwendung von Ezmekly kontinuierlich überwacht. Gemeldete Verdachtsfälle von Nebenwirkungen von Ezmekly werden sorgfältig ausgewertet und alle notwendigen Maßnahmen zum Schutz der Patienten ergriffen.

Weitere Informationen über Ezmekly

Weitere Informationen zu Ezmekly finden Sie auf den Internetseiten der Agentur:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Ezmekly.

Diese Übersicht wurde zuletzt im 07-2025 aktualisiert.