



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ezmekly (*mirdametiniib*)

Ülevaade ravimist Ezmekly ja ELis müügiloa väljastamise põhjendus

Mis on Ezmekly ja milleks seda kasutatakse?

Ezmekly on ravim, mida kasutatakse mittekantseroosete (healoomuliste) kasvajate – närvidel kasvavate pleksiformsete neurofibroomide – raviks 1. tüüpi neurofibromatoosiga (NF1) täiskasvanutel ja vähemalt 2-aastastel lastel. Seda kasutatakse, kui kasvajad põhjustavad sümptomeid (nt valu ja nõrkus) ja neid ei saa kirurgiliselt eemaldada.

Neurofibromatoos esineb harva ja Ezmekly nimetati 25. juulil 2019 harvikravimiks. Lisateave harvikravimiks nimetamise kohta on EMA [veebilehel](#).

Ezmekly sisaldab toimeainet mirdametiniibi.

Kuidas Ezmeklyt kasutatakse?

Ezmekly on retseptiravim ja ravi peab alustama NF1 põhjustatud kasvajatega patsientide diagnoosimises ja ravis kogenud arst.

Ezmeklyt turustatakse neelatavate kapslitena või vees lahustuvate tablettidena. Ravimit võetakse kaks korda ööpäevas 12-tunnise vahega. Patsiendid võtavad ravimit 3 nädalat ja seejärel teevad 1-nädalase pausi. Seda tsüklit korratakse, kuni haigus süveneb või kõrvalnähud muutuvad vastuvõetamatuks.

Lisateavet Ezmekly kasutamise kohta saate pakendi infolehel või küsige oma arstilt või apteekrilt.

Kuidas Ezmekly toimib?

Ezmekly toimeaine mirdametiniib on väike molekul, mis blokeerib valgu MEK, mis aitab reguleerida rakkude kasvu ja ellujäämist. NF1-ga patsientidel on MEK üliaktiivne, mis põhjustab pleksiformsete neurofibroomide kasvu närvirakkudel. MEK-retseptorit blokeerides aitab mirdametiniib nende kasvajate suurust vähendada.

Mis on uuringute põhjal Ezmekly kasulikkus?

Põhiuuringus osales 114 NF1 põhjustatud pleksiformsete neurofibroomidega vähemalt 2-aastast patsienti, kelle kasvajaid ei olnud võimalik kirurgiliselt eemaldada ja need põhjustasid sümptomeid. Uuringus ei võrreldud Ezmeklyt ühegi muu ravimi ega platseeboga (näiv ravim).

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



Efektiivsuse põhinäitaja oli Ezmekly-ravile tekkinud ravivastusega patsientide osakaal. Ravivastus loeti saavutatuks, kui kasvajaid ei esinenud (täielik ravivastus) või kasvaja suurus vähenes vähemalt 20% (osaline ravivastus) ning ravivastus säilis vähemalt 2–6 kuud.

52% lastest (29 last 56st) reageeris osaliselt. Neist 90%-l püsis ravivastus vähemalt 12 kuud ja 48%-l vähemalt 24 kuud.

Täiskasvanutel oli osaline ravivastus 41%-l (24 patsienti 58st). Neist 88%-l püsis ravivastus vähemalt 12 kuud ja 50%-l vähemalt 24 kuud.

Mis on Ezmekly riskid?

Ezmekly kõrvalnähtude ja piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

Täiskasvanutel on Ezmekly kõige sagedamad kõrvalnähud (võivad esineda enam kui 1 patsiendil 3st) näiteks aknetaoline dermatiit (aknetaoline nahapõletik), kõhulahtisus, iiveldus, ensüümi kreatiinfosfokinaasi suurenenud sisaldus veres, luu-lihaskonna valu (lihaste ja luude valu), oksendamine ja väsimus. Ezmekly kõrvalnähud võivad olla rasked. Kõige sagedamad kõrvalnähud (võivad esineda kuni 1 patsiendil 10st) on näiteks kõhuvalu, luu-lihaskonna valu ja võrkkesta veeni oklusioon (silma tagaosa valgustundliku kesta – võrkkesta – veeni verevarustuse ummistus).

Lastel on Ezmekly kõige sagedamad kõrvalnähud (võivad esineda enam kui 1 patsiendil 3st) näiteks kreatiinfosfokinaasi sisalduse suurenemine veres, kõhulahtisus, aknetaoline dermatiit, luu-lihaskonna valu, kõhuvalu, oksendamine ja peavalu. Rasked kõrvalnähud (võivad esineda kuni 1 patsiendil 10st) on näiteks luu-lihaskonna valu.

Miks Ezmekly ELis heaks kiideti?

Müügiloo andmise ajal oli ELis heaks kiidetud ainult üks ravim pleksiformsete neurofibroomide raviks NF1-ga vähemalt 3-aastastel lastel. Ezmekly pakub täiendavat ravivõimalust ja on osutunud efektiivseks veidi noorematel (2-aastastel) lastel ja täiskasvanutel. Ravimi kasulikkuse ulatus ei ole siiski teada, sest ravimit ei ole võrreldud ühegi muu ravi ega platseeboga ning patsiente jälgiti vähem kui 3 aastat.

Ohutuse seisukohast oli enamik Ezmekly kõrvalnähte kerged kuni mõõdukad. Mõned haruldased, kuid rasked kõrvalnähud võivad siiski mõjutada silmi ja süda. Ei ole selge, kas ravim võib kahjustada DNAd ja soodustada vähi teket. Seda käsitletakse asjakohase hoiatusega ravimiteabes. Samuti esineb määramatusi seoses Ezmekly pikaajalise ohutusega.

Ezmekly on saanud müügiloo tingimusliku heakskiidu alusel. See tähendab, et ravimile on antud müügiluba vähem põhjalike andmete alusel, kui nõutakse tavapäraselt, sest see vastab täitmata ravivajadusele. Amet on arvamisel, et täiendavaid tõendeid oodates on ravimi varasema kättesaadavuse kasulikkus suurem kui kasutamisega seotud riskid.

Lisaks peab ettevõtte esitama Ezmekly kohta lisaandmeid. Ettevõtte peab esitama ravimi ohutuse ja efektiivsuse põhiuuringu pikaajalised tulemused, samuti tulemused uuringust, milles hinnatakse ravimi ohutust kliinilises praktikas kasutamisel. Amet vaatab igal aastal läbi kogu uue teabe.

Mis meetmed võetakse, et tagada Ezmekly ohutu ja efektiivne kasutamine?

Ezmekly ohutu ja efektiivse kasutamise soovitusel ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite korral, tehakse Ezmekly kasutamise kohta pidevat järelevalvet. Ezmekly oletatavaid teatatud kõrvalnähte hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks võetakse vajalikke meetmeid.

Muu teave Ezmekly kohta

Lisateave Ezmekly kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Ezmekly.

Kokkuvõtte viimane uuendus: 07-2025.