



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ezmekly (*mirdametinibi*)

Yleistiedot Ezmeklystä sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Ezmekly on ja mihin sitä käytetään?

Ezmekly on lääke, jota käytetään pleksiformisten neurofibroomien eli punosmaisten hermokasvainten (hermoja pitkin kasvavien hyvänlaatuisten kasvainten) hoitoon aikuisilla ja vähintään 2-vuotiailla lapsilla, joilla on tyyppin 1 neurofibromatoosi (NF1). Ezmeklyä käytetään, kun kasvaimet aiheuttavat oireita (kuten kipua ja heikkoutta), eikä niitä voida poistaa leikkauksella.

Neurofibromatoosi on harvinainen sairaus, ja Ezmekly nimettiin ns. harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 25. heinäkuuta 2019. Lisätietoa harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on EMAn [verkkosivustolla](#).

Ezmeklyn vaikuttava aine on mirdametinibi.

Miten Ezmeklyä käytetään?

Ezmeklyä saa ainoastaan lääkärin määräyksestä, ja hoidon saa aloittaa lääkäri, jolla on kokemusta NF1:n aiheuttamien kasvainten diagnosoinnista ja hoidosta.

Ezmeklyä on saatavana kapseleina, jotka niellään, tai dispergoituvina tabletteina, jotka voidaan liuottaa veteen. Se otetaan kahdesti vuorokaudessa 12 tunnin välein. Potilaat ottavat lääkettä kolme viikkoa, minkä jälkeen hoito lopetetaan yhden viikon ajaksi. Tätä kiertoa toistetaan, kunnes sairaus pahenee tai haittavaikutukset käyvät kohtuuttomiksi.

Lisätietoa Ezmeklyn käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Ezmekly vaikuttaa?

Ezmeklyn vaikuttava aine mirdametinibi on pieni molekyyli, joka vaikuttaa estämällä MEK-nimisen proteiinin toimintaa. MEK auttaa kontrolloimaan solujen kasvua ja selviytymistä. NF1-potilailla MEK on yliaktiivinen, mikä johtaa punosmaisten hermokasvainten kasvuun hermosoluihin. Estämällä MEK-proteiinin toimintaa mirdametinibi auttaa pienentämään näitä kasvaimia.

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



Mitä hyötyä Ezmeklystä on havaittu tutkimuksissa?

Päätutkimukseen osallistui 114 vähintään 2-vuotiaasta potilasta, joilla oli NF1:n aiheuttama pleksiforminen neurofibrooma. Näillä potilailla kasvaimia ei voitu poistaa kirurgisesti, ja ne aiheuttivat oireita. Tässä tutkimuksessa Ezmeklyä ei verrattu mihinkään muuhun hoitoon eikä lumehoitoon.

Tehon pääasiallisena mittana oli niiden potilaiden osuus, joilla havaittiin hoitovaste Ezmekly-hoitoon. Potilailla katsottiin olevan hoitovaste, kun kasvaimesta ei ollut merkkejä (täydellinen vaste) tai kun kasvaimet pienenivät vähintään 20 prosenttia (osittainen vaste) ja hoitovaste säilyi vähintään 2–6 kuukautta.

Lapsista 52 prosentilla (29 potilaalla 56:sta) oli osittainen vaste. Näistä 90 prosentilla vaste säilyi vähintään 12 kuukautta ja 48 prosentilla vähintään 24 kuukautta.

Aikuisista 41 prosentilla (24 potilaalla 58:sta) oli osittainen vaste. Näistä 88 prosentilla vaste säilyi vähintään 12 kuukautta ja 50 prosentilla vähintään 24 kuukautta.

Mitä riskejä Ezmeklyyn liittyy?

Pakkauselosteessa on luettelo kaikista Ezmeklyn haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Aikuisilla Ezmeklyn yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kolmesta) ovat aknetyyppinen dermatiitti (aknea muistuttava ihotulehdus), ripuli, pahoinvointi, kohonnut veren kreatiinifosfokinaasipitoisuus, tuki- ja liikuntaelinten kipu (lihasten ja luiden kipu), oksentelu ja väsymys. Ezmeklyn haittavaikutukset voivat olla vakavia. Yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua enintään yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat vatsakipu, tuki- ja liikuntaelinten kipu ja verkkokalvon laskimotukos.

Lapsilla Ezmeklyn yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kolmesta) ovat kohonnut veren kreatiinifosfokinaasipitoisuus, ripuli, aknetyyppinen dermatiitti (aknea muistuttava ihotulehdus), tuki- ja liikuntaelinten kipu (lihasten ja luiden kipu), vatsakipu, oksentelu ja päänsärky. Vakavia haittavaikutuksia (joita saattaa aiheutua enintään yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat tuki- ja liikuntaelinten kipu.

Miksi Ezmekly on hyväksytty EU:ssa?

Hyväksynnän ajankohtana EU:ssa oli hyväksytty vain yksi lääke pleksiformisten neurofibroomien hoitoon vähintään 3-vuotiailla lapsilla, joilla on NF1. Ezmekly tarjoaa lisähoitovaihtoehdon, ja sen on osoitettu olevan tehokas myös hieman nuoremmilla lapsilla, kaksivuotiailla, ja aikuisilla. Sen hyödyn laajuus on kuitenkin epävarma, koska lääkettä ei ole verrattu mihinkään muuhun hoitoon tai lumehoitoon, ja potilaita seurattiin alle kolmen vuoden ajan.

Turvallisuuden kannalta useimmat Ezmeklyn haittavaikutukset olivat lieviä tai kohtalaisia. Jotkin harvinaiset mutta vakavat haittavaikutukset saattavat kuitenkin vaikuttaa silmiin ja sydämeen. On epäselvää, voiko lääke vahingoittaa DNA:ta ja mahdollisesti vaikuttaa syövän kehittymiseen. Tästä on asianmukainen varoitus valmistetiedoissa. Myös Ezmeklyn pitkän aikavälin turvallisuuteen liittyy epävarmuustekijöitä.

Ezmeklylle on annettu ehdollinen myyntilupa. Tämä tarkoittaa, että sille on myönnetty myyntilupa tavanomaista suppeampien tietojen perusteella, koska kyseisessä käyttöaiheessa hoitovaihtoehtoja on vain vähän. Virasto arvioi, että varhaisemman markkinoille saattamisen hyöty on suurempi kuin käyttöön liittyvät riskit sinä aikana, kun lääkkeestä odotetaan lisänäyttöä.

Lisäksi yhtiön on toimitettava Ezmeklystä lisätietoja. Sen on toimitettava pitkän aikavälin tulokset lääkkeen turvallisuutta ja tehoa koskevasta päätutkimuksesta sekä tulokset tutkimuksesta, jossa arvioidaan lääkkeen turvallisuutta, kun sitä käytetään kliinisessä käytännössä. Virasto arvioi vuosittain mahdollisesti saataville tulevat uudet tiedot.

Miten voidaan varmistaa Ezmeklyn turvallinen ja tehokas käyttö?

Suositukset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Ezmeklyn käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Ezmeklyn käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Ezmeklystä ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Ezmeklystä

Lisätietoja Ezmeklystä on viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Ezmekly.

Tämä yhteenveto on päivitetty viimeksi 07-2025.