



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ezmekly (*mirdamétinib*)

Aperçu d'Ezmekly et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

Qu'est-ce qu'Ezmekly et dans quel cas est-il utilisé?

Ezmekly est un médicament utilisé pour traiter les neurofibromes plexiformes, des tumeurs bénignes (non cancéreuses) qui se développent le long des nerfs chez les adultes et les enfants de deux ans et plus atteints de neurofibromatose de type 1 (NF1). Il est utilisé lorsque les tumeurs provoquent des symptômes (tels que des douleurs et de la faiblesse) et sont non résécables.

La neurofibromatose est rare et Ezmekly a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 25 juillet 2019. Des informations complémentaires sur les désignations de médicaments orphelins sont disponibles sur le [site web](#) de l'EMA.

Ezmekly contient la substance active mirdamétinib.

Comment Ezmekly est-il utilisé?

Ezmekly n'est délivré que sur ordonnance et le traitement doit être instauré par un médecin expérimenté dans le diagnostic et le traitement des patients atteints de tumeurs causées par la NF1.

Ezmekly est disponible sous forme de gélules à avaler ou de comprimés dispersibles dans l'eau. Il est pris deux fois par jour, à 12 heures d'intervalle. Les patients prennent le médicament pendant trois semaines, puis interrompent le traitement pendant une semaine. Ce cycle est répété jusqu'à ce que la maladie s'aggrave ou que les effets indésirables deviennent inacceptables.

Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation d'Ezmekly, voir la notice ou contacter votre médecin ou pharmacien.

Comment Ezmekly agit-il?

La substance active d'Ezmekly, le mirdamétinib, est une petite molécule qui agit en bloquant une protéine appelée MEK, qui aide à contrôler la croissance et la survie des cellules. Chez les personnes atteintes de NF1, MEK est hyperactive, ce qui déclenche la croissance de neurofibromes plexiformes sur les cellules nerveuses. Le mirdamétinib contribue à réduire la taille de ces tumeurs en bloquant la protéine MEK.

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



Quels sont les bénéfices d'Ezmekly démontrés au cours des études?

Une étude principale a porté sur 114 patients âgés de deux ans et plus atteints de neurofibromes plexiformes provoqués par la NF1 et caractérisés par des tumeurs ne pouvant pas être éliminées par voie chirurgicale et causant des symptômes. Dans le cadre de cette étude, Ezmekly n'a été comparé à aucun autre traitement ni à aucun placebo (traitement fictif).

Le principal critère d'évaluation de l'efficacité était la proportion de patients ayant répondu au traitement par Ezmekly. On a estimé que les patients avaient répondu au traitement lorsque plus aucun signe de tumeur (réponse complète) n'était constaté ou lorsque la taille des tumeurs avaient diminué d'au moins 20 % (réponse partielle), et que la réponse se maintenait pendant au moins deux à six mois.

Chez les enfants, 52 % (29 sur 56) ont présenté une réponse partielle. Chez 90 % de ces patients, la réponse s'est maintenue pendant au moins 12 mois, et chez 48 %, pendant au moins 24 mois.

Chez les adultes, 41 % (24 sur 58) ont présenté une réponse partielle. Chez 88 % de ces patients, la réponse s'est maintenue pendant au moins 12 mois, et chez 50 %, pendant au moins 24 mois.

Quels sont les risques associés à l'utilisation d'Ezmekly?

Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions associés à Ezmekly, voir la notice.

Chez les adultes, les effets indésirables les plus couramment observés sous Ezmekly (qui peuvent toucher plus d'une personne sur trois) sont notamment les suivants: dermatite acnéiforme (inflammation de la peau ressemblant à de l'acné), diarrhée, nausées (envie de vomir), augmentation des taux sanguins de l'enzyme créatine phosphokinase, douleurs musculosquelettiques (douleurs dans les muscles et les os), vomissements et fatigue. Les effets indésirables sous Ezmekly peuvent être graves. Les plus fréquents (qui peuvent toucher jusqu'à une personne sur 10) sont les douleurs abdominales (maux de ventre), les douleurs musculosquelettiques et l'occlusion veineuse rétinienne (blocage du flux sanguin dans une veine de la rétine, la membrane photosensible située à l'arrière de l'œil).

Chez les enfants, les effets indésirables les plus couramment observés sous Ezmekly (qui peuvent toucher plus d'une personne sur trois) sont notamment les suivants: augmentation des taux sanguins de créatine phosphokinase, diarrhée, dermatite acnéiforme, douleurs musculosquelettiques, douleurs abdominales, vomissements et maux de tête. Parmi les effets indésirables graves (qui peuvent toucher jusqu'à une personne sur 10) figurent les douleurs musculosquelettiques.

Pourquoi Ezmekly est-il autorisé dans l'UE?

Au moment de l'approbation, un seul médicament était autorisé dans l'UE pour traiter les neurofibromes plexiformes chez les enfants âgés de trois ans et plus atteints de NF1. Ezmekly constitue une option de traitement supplémentaire et s'est avéré efficace chez les enfants à partir d'un âge légèrement inférieur (deux ans) et chez les adultes. Toutefois, l'ampleur de ses bénéfices est incertaine, étant donné que le médicament n'a été comparé à aucun autre traitement ni à aucun placebo, et que les patients ont fait l'objet d'un suivi de moins de trois ans.

En termes de sécurité, la plupart des effets indésirables observés sous Ezmekly étaient légers à modérés. Toutefois, certains effets indésirables rares mais graves peuvent affecter les yeux et le cœur. Il existe des incertitudes quant à la question de savoir si le médicament pourrait endommager l'ADN et éventuellement contribuer au développement d'un cancer. Cette incertitude est signalée au moyen

d'une mise en garde adéquate dans les informations sur le produit. Il existe également des incertitudes quant à la sécurité à long terme d'Ezmekly.

Une autorisation conditionnelle a été délivrée pour Ezmekly. L'autorisation conditionnelle est accordée sur la base de données moins détaillées que celles qui sont normalement requises. Elle est accordée pour les médicaments qui répondent à un besoin médical non satisfait. L'Agence estime que les bénéfices de la mise à disposition anticipée de ce médicament sont supérieurs aux risques associés à son utilisation, dans l'attente de preuves supplémentaires.

La société devra par ailleurs fournir des données supplémentaires sur Ezmekly. Elle devra présenter les résultats à long terme de l'étude principale sur la sécurité et l'efficacité du médicament, ainsi que les résultats d'une étude évaluant sa sécurité lorsqu'il est utilisé dans la pratique clinique. Chaque année, l'Agence examinera toute nouvelle information disponible.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace d'Ezmekly?

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace d'Ezmekly ont été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation d'Ezmekly sont surveillées en permanence. Les effets indésirables suspectés rapportés sous Ezmekly sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

Autres informations relatives à Ezmekly:

De plus amples informations sur Ezmekly sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Ezmekly.

Dernière mise à jour du présent aperçu: 07-2025.