



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ezmekly (*mirdametinib*)

Pregled informacija o lijeku Ezmekly i zašto je odobren u EU-u

Što je Ezmekly i za što se koristi?

Ezmekly je lijek koji se koristi za liječenje pleksiformnih neurofibroma, dobroćudnih (nekancerogenih) tumora koji rastu duž živaca u odraslih osoba i djece u dobi od dvije ili više godina s neurofibromatozom tipa 1 (NF1). Primjenjuje se kada tumori uzrokuju simptome (kao što su bol i slabost) i ne mogu se kirurški odstraniti.

Neurofibromatoza je rijetka bolest, a lijek Ezmekly dobio je status „lijeka za rijetku bolest” 25. srpnja 2019. Više informacija o statusu lijekova za rijetke bolesti dostupno je na [mrežnom mjestu](#) EMA-e.

Ezmekly sadrži djelatnu tvar mirdametinib.

Kako se Ezmekly primjenjuje?

Ezmekly se izdaje samo na recept, a liječenje mora započeti liječnik s iskustvom u dijagnosticiranju i liječenju bolesnika s tumorima koje uzrokuje NF1.

Lijek Ezmekly dostupan je u obliku kapsula koje se progutaju ili tableta za oralnu suspenziju koje se mogu otopiti u vodi. Uzima se dvaput dnevno, u razmaku od 12 sati. Bolesnici uzimaju lijek tri tjedna, a zatim rade pauzu od tjedan dana. Taj se ciklus ponavlja sve dok se bolest ne pogorša ili dok nuspojave ne postanu neprihvatljive.

Za više informacija o primjeni lijeka Ezmekly pročitajte uputu o lijeku odnosno obratite se liječniku ili ljekarniku.

Kako djeluje Ezmekly?

Djelatna tvar lijeka Ezmekly, mirdametinib, mala je molekula koja blokira protein naziva MEK koji sudjeluje u kontroli rasta i preživljavanja stanica. U osoba koje imaju NF1 MEK je prekomjerno aktivan, što dovodi do rasta pleksiformnih neurofibroma na živčanim stanicama. Blokiranjem MEK-a mirdametinib pomaže u smanjenju tih tumora.

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



Koje su koristi od lijeka Ezmekly utvrđene u ispitivanjima?

U glavnom ispitivanju sudjelovalo je 114 bolesnika u dobi od dvije i više godina s pleksiformnim neurofibromima koje uzrokuje NF1 čiji se tumori nisu mogli kirurški odstraniti i koji su uzrokovali simptome. U tom ispitivanju lijek Ezmekly nije uspoređivan s drugim lijekom niti s placebom (prividnim liječenjem).

Glavna mjera djelotvornosti bio je udio bolesnika koji je odgovorio na liječenje lijekom Ezmekly. Odgovorom se smatralo kada nije bilo znakova tumora (potpuni odgovor) ili ako su se tumori smanjili za najmanje 20 % (djelomičan odgovor), a odgovor je trajao najmanje 2 do 6 mjeseci.

U djece je odgovor bio djelomičan u 52 % (29 od 56) bolesnika. Od toga je u njih 90 % odgovor trajao najmanje 12 mjeseci, a u 48 % njih najmanje 24 mjeseca.

U odraslih je 41 % (24 od 58) bolesnika imalo djelomičan odgovor. Od toga je u njih 88 % odgovor trajao najmanje 12 mjeseci, a u 50 % njih najmanje 24 mjeseca.

Koji su rizici povezani s lijekom Ezmekly?

Potpuni popis nuspojava i ograničenja povezanih s lijekom Ezmekly potražite u uputi o lijeku.

Najčešće nuspojave lijeka Ezmekly (koje se mogu javiti u više od 1 na 3 osobe) u odraslih uključuju akneiformni dermatitis (upalu kože koja nalikuje aknama), proljev, mučninu (slabost), povišene razine enzima kreatin fosfokinaze u krvi, mišićno-koštanu bol (bol u mišićima i kostima), povraćanje i umor. Nuspojave lijeka Ezmekly mogu biti ozbiljne. Najčešće nuspojave (koje se mogu javiti u manje od 1 na 10 osoba) uključuju bol u abdomenu (trbuhu), mišićno-koštanu bol i okluziju mrežnične vene (začepljenje protoka krvi u veni mrežnice, membrane osjetljive na svjetlost u stražnjem dijelu oka).

Najčešće nuspojave lijeka Ezmekly (koje se mogu javiti u više od 1 na 3 osobe) u djece uključuju povišenu razinu kreatin fosfokinaze u krvi, proljev, akneiformni dermatitis, mišićno-koštanu bol, bol u trbuhu, povraćanje i glavobolju. Ozbiljne nuspojave (koje se mogu javiti u manje od 1 na 10 osoba) uključuju mišićno-koštanu bol.

Zašto je lijek Ezmekly odobren u EU-u?

U trenutku izdavanja odobrenja u EU-u je za pleksiformne neurofibrome u djece u dobi od tri i više godina s NF1 bio odobren samo jedan lijek. Ezmekly pruža dodatnu mogućnost liječenja i pokazao se djelotvornim u djece nešto mlađe dobi (dvije godine) i u odraslih osoba. Međutim, opseg njegovih koristi nije siguran jer lijek nije uspoređen s drugim lijekovima niti s placebom, a bolesnike se pratilo manje od tri godine.

Kad je riječ o sigurnosti, većina nuspojava zabilježenih pri primjeni lijeka Ezmekly bila je blaga do umjerena. Međutim, neke rijetke, ali ozbiljne nuspojave mogu utjecati na oči i srce. Nejasno je može li lijek oštetiti DNK i potencijalno pridonijeti razvoju raka. Stoga se u informacijama o lijeku navodi odgovarajuće upozorenje. Postoje i nesigurnosti u pogledu dugoročne sigurnosti lijeka Ezmekly.

Za lijek Ezmekly izdano je uvjetno odobrenje. To znači da je odobren na temelju manje opsežnih podataka nego što je to obično potrebno jer ispunjava nezadovoljenu medicinsku potrebu. Agencija smatra da korist od ranijeg stavljanja lijeka na raspolaganje nadmašuje sve rizike povezane s njegovom primjenom dok se čekaju dodatni dokazi.

Osim toga, tvrtka mora dostaviti dodatne podatke o lijeku Ezmekly. Mora dostaviti dugoročne rezultate glavnog ispitivanja o sigurnosti i djelotvornosti lijeka, kao i rezultate ispitivanja u kojem se procjenjuje

njegova sigurnost kada se primjenjuje u kliničkoj praksi. Svake će godine Europska agencija za lijekove procijeniti sve nove informacije koje postanu dostupne.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Ezmekly?

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Ezmekly nalaze se u sažetku opisa svojstava i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Ezmekly kontinuirano se prate. Sumnje na nuspojave prijavljene za lijek Ezmekly pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se sve potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

Ostale informacije o lijeku Ezmekly

Više informacija o lijeku Ezmekly dostupno je na mrežnom mjestu Agencije:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Ezmekly.

Pregled informacija posljednji je put ažuriran u 7. 2025.