



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ezmekly (*mirdametinib*)

Az Ezmekly-re vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer az Ezmekly és milyen betegségek esetén alkalmazható?

Az Ezmekly-t az idegek mentén növekvő plexiform neurofibromák, jóindulatú (nem rákos) daganatok kezelésére alkalmazzák felnőtteknél és 2 éves és idősebb, 1-es típusú neurofibromatózisban (NF1) szenvedő gyermekeknél. A gyógyszert akkor alkalmazzák, ha a daganatok tüneteket (például fájdalmat és gyengeséget) okoznak, és műtéttel nem távolíthatók el.

Mivel a neurofibromatózis „ritkának” minősül, ezért az Ezmekly-t 2019. július 25-én „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről az EMA [honlapján](#) található.

Az Ezmekly hatóanyaga a mirdametinib.

Hogyan kell alkalmazni az Ezmekly-t?

Az Ezmekly csak receptre kapható, és a kezelést az NF1 által okozott daganatos betegek diagnosztizálásában és kezelésében tapasztalattal rendelkező orvosnak kell megkezdenie.

Az Ezmekly lenyelhető kapszula vagy vízben diszpergálható tabletta formájában kapható. A gyógyszert naponta kétszer, 12 órás időközönsséggel kell bevenni. A betegek 3 hétig szedik a gyógyszert, majd 1 hétre leállnak a kezeléssel. Ezt a ciklust addig kell ismételni, amíg a betegség nem súlyosbodik, illetve a mellékhatások elfogadhatatlanná nem válnak.

Az Ezmekly alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

Hogyan fejti ki hatását az Ezmekly?

Az Ezmekly hatóanyaga, a mirdametinib, egy kis molekula, amely a sejtek növekedésének és túlélésének szabályozását segítő, MEK nevű fehérje gátlásával fejti ki hatását. Az NF1-ben szenvedő betegeknél a MEK túlműködik, ami az idegsejteken található plexiform neurofibromák növekedéséhez vezet. A MEK gátlása révén a mirdametinib hozzájárul ezeknek a tumoroknak a zsugorodásához.

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



Milyen előnyei voltak az Ezmekly alkalmazásának a vizsgálatok során?

Egy fő vizsgálatban 114, NF1 által okozott plexiform neurofibromában szenvedő, 2 éves és idősebb beteg vett részt, akiknél a daganatokat műtéti úton nem lehetett eltávolítani és tüneteket okoztak. Ebben a vizsgálatban az Ezmekly-et nem hasonlították össze semmilyen más kezeléssel vagy placebóval (hatóanyag nélküli kezelés).

A hatásosság fő mutatója az Ezmekly-kezelésre reagáló betegek aránya volt. A betegeket akkor tekintették úgy, hogy reagáltak a kezelésre, ha a daganatnak nem volt jele (teljes válasz), vagy ha a daganat mérete legalább 20%-kal csökkent (részleges válasz), és a válasz legalább 2-6 hónapig fennmaradt.

Gyermekeknél a betegek 52%-ánál (56-ból 29-nél) alakult ki részleges válasz. Ezek 90%-ánál legalább 12 hónapig, 48%-ánál pedig legalább 24 hónapig maradt fenn a terápiás válasz.

Felnőtteknél a betegek 41%-ánál (58-ból 24-nél) alakult ki részleges válasz. Ezek 88%-ánál legalább 12 hónapig, 50%-ánál pedig legalább 24 hónapig maradt fenn a terápiás válasz.

Milyen kockázatokkal jár az Ezmekly alkalmazása?

Az Ezmekly alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Felnőtteknél az Ezmekly leggyakoribb mellékhatásai (3 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) az akneiform dermatitisz (aknészerű bőrgyulladás), a hasmenés, a hányinger, a kreatin-foszfokináz enzim emelkedett vérszintje, a váz- és izomrendszeri fájdalom (izom- és csontfájdalom), a hányás és a fáradtság. Az Ezmekly mellékhatásai súlyosak lehetnek. A leggyakoribb mellékhatások (10 beteg közül legfeljebb 1-nél jelentkezhet) a hasi fájdalom, a mozgásszervi fájdalom és a retinavéna-elzáródás (a retina – a szem hátsó részén található fényérzékeny membrán – vénájában a véráramlás elzáródása).

Gyermekeknél az Ezmekly leggyakoribb mellékhatásai (3 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a kreatin-foszfokináz emelkedett vérszintje, a hasmenés, a dermatitisz akneiform, a váz- és izomrendszeri fájdalom, a hasi fájdalom, a hányás és a fejfájás. A súlyos mellékhatások (10 beteg közül legfeljebb 1-nél jelentkezhet) közé tartozik a váz- és izomrendszeri fájdalom.

Miért engedélyezték az Ezmekly forgalomba hozatalát az EU-ban?

A jóváhagyás időpontjában az EU-ban csak egy gyógyszert engedélyeztek plexiform neurofibroma kezelésére az NF1-ben szenvedő hároméves és idősebb gyermekeknél. Az Ezmekly egy további kezelési lehetőséget kínál, és némileg fiatalabb – kétéves – gyermekeknél és felnőtteknél hatékonynak bizonyult. Az előnyös hatások mértéke azonban bizonytalan, mivel a gyógyszert nem hasonlították össze más kezeléssel vagy placebóval, és a betegeket kevesebb mint 3 évig kísérték figyelemmel.

A biztonságosságot illetően az Ezmekly alkalmazásával kapcsolatban jelentett mellékhatások többsége enyhe vagy közepesen súlyos volt. Néhány ritka, de súlyos mellékhatás azonban hatással lehet a szemre és a szívre. Bizonytalanságok merülnek fel azzal kapcsolatban, hogy a gyógyszer károsíthatja-e a DNS-t és potenciálisan hozzájárulhat-e a daganat kialakulásához. Erre irányul a kísérőiratokban található megfelelő figyelmeztetés. Az Ezmekly hosszú távú biztonságosságát illetően is bizonytalanságok állnak fenn.

Az Ezmekly-t feltételes forgalombahozatali engedéllyel engedélyezték. Ez azt jelenti, hogy a feltételes forgalombahozatali engedélyt a szokásosan előírtaknál kevésbé átfogó adatok alapján adják ki olyan gyógyszerek esetében, amelyek egyes súlyos betegségek kezelésére vonatkozóan kielégítetlen gyógyszerigényt elégítenek ki. Az Ügynökség úgy véli, hogy a gyógyszer korábbi rendelkezésre

állásának előnyei meghaladják a gyógyszer alkalmazásával járó kockázatokat addig is, amíg további bizonyítékokra kell várni.

Ezenkívül a vállalatnak további adatokat kell szolgáltatnia az Ezmekly-ről. A vállalatnak be kell nyújtania a gyógyszer biztonságosságára és hatásosságára vonatkozó fő vizsgálat hosszú távú eredményeit, valamint egy olyan vizsgálat eredményeit, amely a gyógyszer biztonságosságát értékeli a klinikai gyakorlatban történő alkalmazás esetén. Az Ügynökség évente felülvizsgál minden újonnan hozzáférhető információt.

Milyen intézkedések vannak folyamatban az Ezmekly biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

Az Ezmekly biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

Az Ezmekly alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. Az Ezmekly alkalmazásával összefüggésben jelentett feltételezett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

Az Ezmekly-vel kapcsolatos egyéb információ

Az Ezmekly-vel kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Ezmekly.

Az áttekintés utolsó aktualizálása: 07-2025.