



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ezmekly (*mirdametinib*)

Sintesi di Ezmekly e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Ezmekly e per cosa si usa?

Ezmekly è un medicinale indicato per il trattamento dei neurofibromi plessiformi, tumori benigni (non cancerosi) che crescono lungo i nervi negli adulti e nei bambini di età pari o superiore a 2 anni affetti da neurofibromatosi di tipo 1 (NF1). È usato quando i tumori causano sintomi (quali dolore e debolezza) e non possono essere asportati chirurgicamente.

La neurofibromatosi è rara ed Ezmekly è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 25 luglio 2019. Ulteriori informazioni sulla qualifica di medicinale orfano sono disponibili sul [sito web](#) dell'EMA.

Ezmekly contiene il principio attivo mirdametinib.

Come si usa Ezmekly?

Ezmekly può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e il trattamento deve essere avviato da un medico esperto nella diagnosi e nel trattamento di pazienti affetti da tumori causati dall'NF1.

Ezmekly è disponibile in capsule da deglutire o in compresse dispersibili in acqua. Le capsule vanno assunte due volte al giorno, a 12 ore di distanza l'una dall'altra. I pazienti assumono il medicinale per 3 settimane e poi lo interrompono per 1 settimana. Questo ciclo viene ripetuto fino a quando la malattia si aggrava o gli effetti indesiderati diventano inaccettabili.

Per maggiori informazioni sull'uso di Ezmekly, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

Come agisce Ezmekly?

Il principio attivo di Ezmekly, mirdametinib, è una piccola molecola che agisce bloccando una proteina denominata MEK, che contribuisce a controllare le modalità di crescita e di sopravvivenza delle cellule. MEK nelle persone affette da NF1 è iperattiva e causa la crescita di neurofibromi plessiformi sulle cellule nervose. Bloccando MEK mirdametinib contribuisce a ridurre le dimensioni di questi tumori.

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



Quali benefici di Ezmekly sono stati evidenziati negli studi?

Uno studio principale è stato condotto su 114 pazienti di età pari o superiore a 2 anni affetti da neurofibromi plessiformi causati da NF1 i cui tumori causavano sintomi e non potevano essere asportati mediante intervento chirurgico. In questo studio Ezmekly non è stato confrontato con alcun altro trattamento o placebo (un trattamento fittizio).

La principale misura dell'efficacia era la percentuale di pazienti che rispondevano al trattamento con Ezmekly. Si considerava che i pazienti avessero risposto quando non presentavano più segni di tumori (risposta completa) o quando la dimensione dei tumori si riduceva di almeno il 20 % (risposta parziale) e se continuavano a rispondere per almeno 2-6 mesi.

Il 52 % (29 su 56) dei bambini ha evidenziato una risposta parziale. Di questi, il 90 % ha continuato a rispondere per almeno 12 mesi e il 48 % per almeno 24 mesi.

Per quanto riguarda gli adulti, il 41 % (24 su 58) ha evidenziato una risposta parziale. Di questi, l'88 % ha continuato a rispondere per almeno 12 mesi e il 50 % per almeno 24 mesi.

Quali sono i rischi associati a Ezmekly?

Per l'elenco completo delle limitazioni e degli effetti indesiderati rilevati con Ezmekly, vedere il foglio illustrativo.

Negli adulti gli effetti indesiderati più comuni di Ezmekly (che possono riguardare più di 1 persona su 3) comprendono dermatite acneiforme (infiammazione della pelle simile all'acne), diarrea, nausea, livelli elevati dell'enzima creatina fosfochinasi nel sangue, dolore muscoloscheletrico (dolore ai muscoli e alle ossa), vomito e stanchezza. Gli effetti indesiderati di Ezmekly possono essere gravi. I più frequenti (che possono riguardare fino a 1 persona su 10) comprendono dolore addominale, dolore muscoloscheletrico e occlusione della vena retinica (blocco del flusso sanguigno in una vena della retina, la membrana sensibile alla luce nella parte posteriore dell'occhio).

Nei bambini gli effetti indesiderati più comuni di Ezmekly (che possono riguardare più di 1 persona su 3) comprendono livelli elevati di creatinfosfochinasi nel sangue, diarrea, dermatite acneiforme, dolore muscoloscheletrico, dolore addominale, vomito e cefalea. Gli effetti indesiderati gravi (che possono riguardare fino a 1 persona su 10) comprendono dolore muscoloscheletrico.

Perché Ezmekly è autorizzato nell'UE?

Al momento dell'approvazione un solo medicinale era autorizzato nell'UE per i neurofibromi plessiformi, nella fattispecie in bambini di età pari o superiore a 3 anni affetti da NF1. Ezmekly offre un'opzione di trattamento supplementare ed è risultato efficace nei bambini a partire da un'età leggermente più bassa (2 anni) e negli adulti. Tuttavia, la portata dei benefici è incerta, in quanto il medicinale non è stato confrontato con altri trattamenti o con placebo e i pazienti sono stati seguiti per meno di 3 anni.

In termini di sicurezza, gli effetti indesiderati osservati con Ezmekly sono stati per la maggior parte da lievi a moderati. Tuttavia, taluni effetti indesiderati rari ma gravi possono interessare gli occhi e il cuore. Non è chiaro se il medicinale possa danneggiare il DNA e contribuire allo sviluppo di cancro. Questo problema viene affrontato mediante un'adeguata avvertenza nelle informazioni sul prodotto. Vi sono inoltre incertezze in merito alla sicurezza a lungo termine di Ezmekly.

Ezmekly ha ottenuto un'autorizzazione subordinata a condizioni. Questo significa che è stato autorizzato sulla base di dati meno esaustivi di quelli normalmente necessari, poiché risponde a un'esigenza medica non soddisfatta. L'Agenzia ritiene che i benefici derivanti dalla disponibilità anticipata del medicinale siano superiori ai rischi associati al suo utilizzo in attesa di ulteriori prove.

Inoltre, la ditta deve fornire ulteriori dati su Ezmekly presentando i risultati a lungo termine dello studio principale sulla sicurezza e sull'efficacia del medicinale nonché i risultati di uno studio che valuta la sicurezza del suo utilizzo nella pratica clinica. Ogni anno l'Agenzia esaminerà le nuove informazioni disponibili.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Ezmekly?

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Ezmekly sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Ezmekly sono costantemente monitorati. I presunti effetti indesiderati riportati con Ezmekly sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Ezmekly

Ulteriori informazioni su Ezmekly sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:

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

Ultimo aggiornamento della presente sintesi: 07-2025.