



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ezmekly (*merdametinibas*)

Ezmekly apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

Kas yra Ezmekly ir kam jis vartojamas?

Ezmekly yra skirtas pleksiforminių neurofibromų (NP), gerybinių (nevėžinių) navikų, augančių aplink nervus, gydymui vyresniems nei 2 metų vaikams ir suaugusiesiems, sergantiems 1 tipo neurofibromatoze (NF1). Vaistas skiriamas, kai navikai sukelia simptomus (pvz., skausmą ir silpnumą) ir jų negalima pašalinti chirurginiu būdu.

Neurofibromatozė laikoma reta liga, todėl 2019 m. liepos 25 d. Ezmekly buvo priskirtas „retųjų vaistų“ (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. Daugiau informacijos apie priskyrimą retiesiems vaistams galima rasti EMA [interneto svetainėje](#).

Ezmekly sudėtyje yra veikliosios medžiagos mirdametinibo.

Kaip vartoti Ezmekly?

Ezmekly galima įsigyti tik pateikus receptą, o gydymą turėtų pradėti gydytojas, turintis NF1 sukeltų navikų diagnostikos ir gydymo patirties.

Gaminamos Ezmekly kapsulės, kurias reikia nuryti arba disperguojamosios tabletės, kurias galima ištirpinti vandenyje. Vaistas vartojamas du kartus per parą, kas 12 valandų. Pacientai vaistą vartoja 3 savaites, o po to daro savaitės pertrauką. Šis ciklas kartojamas tol, kol liga paūmėja arba kol šalutinis poveikis tampa nepriimtinas.

Daugiau informacijos apie Ezmekly vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.

Kaip veikia Ezmekly?

Ezmekly veiklioji medžiaga mirdametinibas yra nedidelė molekulė, kuri slopina baltymą MEK, kontroliuojantį ląstelių augimą ir išgyvenimą. NF1 sergančių žmonių organizme MEK yra pernelyg aktyvus, dėl to nervinėse ląstelėse pradeda augti pleksiforminės neurofibromos. Slopindamas MEK, mirdametinibas padeda sumažinti šiuos navikus.

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



Kokia Ezmekly nauda nustatyta tyrimų metu?

Pagrindiniame tyrime dalyvavo 114 pacientų nuo 2 metų ir vyresnių, sergančių NF1 sukeltomis pleksiforminėmis neurofibromomis, kurių navikų nebuvo galima pašalinti chirurginiu būdu ir kurie kėlė simptomus. Šiame tyrime Ezmekly nebuvo lyginamas su jokių kitu vaistu ar placebo (preparatu be veikliosios medžiagos).

Pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo pacientų, kuriems gydymas Ezmekly buvo veiksmingas, dalis. Atsakas į gydymą nustatytas tiems pacientams, kuriems nepasireiškė jokių navikų požymių (visiškas atsakas) arba kurių navikai sumažėjo bent 20 proc. (dalinis atsakas), ir vaistas išliko veiksmingas bent 2–6 mėnesius.

52 proc. (29 iš 56) vaikų nustatytas dalinis atsakas į gydymą. Iš jų 90 proc. atsakas į gydymą išliko bent 12 mėnesių, o 48 proc. – bent 24 mėnesius.

Suaugusiesiems dalinis atsakas į gydymą nustatytas 41 proc. (24 iš 58) pacientų. Iš jų 88 proc. pacientų atsakas į gydymą išliko bent 12 mėnesių, o 50 proc. – bent 24 mėnesius.

Kokia rizika susijusi su Ezmekly vartojimu?

Išsamų visų Ezmekly šalutinio poveikio reiškinių ir apribojimų sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Dažniausias Ezmekly šalutinis poveikis (galintis pasireikšti daugiau kaip 1 žmogui iš 3) yra aknės tipo dermatitas (į aknę panašus odos uždegimas), viduriavimas, pykinimas, padidėjęs fermento kreatinino fosfokinazės kiekis kraujyje, raumenų ir kaulų skausmas, vėmimas ir nuovargis. Ezmekly šalutinis poveikis gali būti sunkus. Dažniausias šalutinis poveikis (galintis pasireikšti ne daugiau kaip 1 žmogui iš 10) yra pilvo skausmas, raumenų ir kaulų skausmas ir tinklainės venos okliuzija (tinklainės, šviesai jautraus vidinio akies obuolio sluoksnio, venos užsikimšimas).

Dažniausias Ezmekly šalutinis poveikis vaikams (galintis pasireikšti daugiau kaip 1 žmogui iš 3) yra padidėjęs kreatinino fosfokinazės kiekis kraujyje, viduriavimas, aknės tipo dermatitas, raumenų ir kaulų skausmas, pilvo skausmas, vėmimas ir galvos skausmas. Sunkus šalutinis poveikis (galintis pasireikšti ne daugiau kaip 1 žmogui iš 10) yra raumenų ir kaulų skausmas.

Kodėl Ezmekly buvo registruotas ES?

Tuo metu, kai vaistas buvo įregistruotas, ES rinkoje buvo tik vienas vaistas nuo NF1 sukeltų pleksiforminių neurofibromų pacientams nuo trejų metų amžiaus. Ezmekly suteikia papildomą gydymo galimybę ir buvo įrodyta, kad jis veiksmingas vaikams nuo šiek tiek jaunesnio (dvejų metų) amžiaus ir suaugusiesiems. Tačiau jo naudos mastas yra neaiškus, nes vaistas nebuvo lyginamas su jokių kitu vaistu ar placebo, o pacientai buvo stebimi trumpiau nei 3 metus.

Kalbant apie saugumą, dauguma Ezmekly šalutinių reiškinių buvo lengvi arba vidutinio sunkumo. Tačiau kai kurie reti, bet sunkūs šalutiniai reiškiniai gali paveikti akis ir širdį. Neaišku, ar vaistas gali pakenkti DNR ir galbūt prisidėti prie vėžio vystymosi. Dėl to produkto informaciniuose dokumentuose pateikiamas atitinkamas įspėjimas. Taip pat kyla abejonių dėl ilgalaikio Ezmekly saugumo.

Ezmekly registracija yra sąlyginė. Tai reiškia, kad vaistas buvo registruotas remiantis mažiau išsamiais duomenimis, nei paprastai reikalaujama, nes jis patenkina nepatenkintą medicininį poreikį. Agentūra mano, kad greičiau prieinamo vaisto nauda yra didesnė už bet kokią jo vartojimo riziką, laukiant papildomų įrodymų.

Be to, bendrovė turi pateikti daugiau duomenų apie Ezmekly. Ji turi pateikti pagrindinio vaisto saugumo ir veiksmingumo tyrimo ilgalaikius rezultatus, taip pat tyrimo, kurio metu buvo vertinamas

vaisto saugumas, kai jis vartojamas klinikinėje praktikoje, rezultatus. Agentūra kasmet peržiūrės visą naujai gautą informaciją.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Ezmekly vartojimą?

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtrauktos saugaus ir veiksmingo Ezmekly vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Ezmekly vartojimo duomenys yra nuolatos stebimi. Įtariamas Ezmekly šalutinis poveikis yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

Kita informacija apie Ezmekly

Daugiau informacijos apie Ezmekly rasite Agentūros tinklalapyje adresu:

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

Ši apžvalga paskutinį kartą atnaujinta 2025-07.