



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ezmekly (*mirdametinibs*)

Ezmekly pārskats un kāpēc tās ir reģistrētas ES

Kas ir *Ezmekly* un kāpēc tās lieto?

Ezmekly ir zāles, ko lieto, lai ārstētu pleksiformas neurofibromas, labdabīgus (nejaundabīgus) audzējus, kas aug nervos pieaugušajiem un bērniem no divu gadu vecuma ar 1. tipa neurofibromatozi (NF1). Tās lieto, ja audzēji izraisa simptomus (piemēram, sāpes un vājumu) un tos nevar izoperēt.

Neurofibromatoze ir reta slimība, un 2019. gada 25. jūlijā *Ezmekly* tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss. Detalizēta informācija par retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodama EMA [tīmekļa vietnē](#).

Ezmekly satur aktīvo vielu mirdametinibu.

Kā lieto *Ezmekly*?

Ezmekly var iegādāties tikai pret recepti, un ārstēšana ir jāuzsāk ārstam ar pieredzi NF1 izraisītu audzēju diagnostikā un ārstēšanā.

Ezmekly ir pieejamas kā kapsulas, kas jānorij, vai dispergējamas tabletes, ko var izšķīdināt ūdenī. Tās lieto divas reizes dienā ar 12 stundu starplaiku. Pacienti lieto zāles 3 nedēļas un pēc tam nelieto tās vienu nedēļu. Šo ciklu atkārto, līdz slimība pasliktinās vai blakusparādības kļūst nepieņemamas.

Papildu informāciju par *Ezmekly* lietošanu skatiet zāļu lietošanas instrukcijā vai jautājiēt ārstam vai farmaceitam.

Kā *Ezmekly* darbojas?

Ezmekly aktīvā viela mirdametinibs ir neliela molekula, kas darbojas, bloķējot proteīnu, ko dēvē par MEK un kas palīdz kontrolēt šūnu augšanu un izdzīvošanu. Cilvēkiem ar NF1 MEK ir pārmērīgi aktīvs, kā rezultātā uz nervu šūnām attīstās pleksiformas neurofibromas. Bloķējot MEK, mirdametinibs palīdz samazināt šos audzējus.

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



Kādi *Ezmekly* ieguvumi atklāti pētījumos?

Pamat pētījumā piedalījās 114 pacienti vecumā no diviem gadiem ar NF1 izraisītām pleksiformas neurofibromām, kuriem audzējus nevarēja izņemt ķirurģiski un kuri izraisīja simptomus. Šajā pētījumā nesalīdzināja *Ezmekly* ar kādu citu ārstēšanas līdzekli vai placebo (fiktīvu ārstēšanu).

Galvenais efektivitātes rādītājs bija to pacientu īpatsvars, kuri reaģēja uz ārstēšanu ar *Ezmekly*. Tika uzskatīts, ka pacienti ir reaģējuši, ja nebija audzēju pazīmju (pilnīga atbildes reakcija) vai ja audzēji samazinājās vismaz par 20 % (daļēja atbildes reakcija), un atbildes reakcija tika saglabāta vismaz 2 līdz 6 mēnešus.

Bērniem 52 % (29 no 56) bija daļēja atbildes reakcija. No tiem 90 % saglabāja savu atbildes reakciju vismaz 12 mēnešus un 48 % vismaz 24 mēnešus.

Pieaugušajiem 41 % (24 no 58) bija daļēja atbildes reakcija. No tiem 88 % saglabāja savu atbildes reakciju vismaz 12 mēnešus un 50 % vismaz 24 mēnešus.

Kāds risks pastāv, lietojot *Ezmekly*?

Pilnu visu ziņoto blakusparādību un ierobežojumu sarakstu, lietojot *Ezmekly*, skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Pieaugušajiem visbiežākās *Ezmekly* blakusparādības (kas var rasties vairāk nekā 1 no 3 cilvēkiem) ir aknei līdzīgs dermatīts (ādas iekaisums, kas atgādina akni), caureja, slikta dūša (nelabums), paaugstināts enzīma kreatīnfosfokināzes līmenis asinīs, skeleta-muskuļu sāpes (sāpes muskuļos un kaulos), vemšana un nogurums. *Ezmekly* blakusparādības var būt nopietnas. Visbiežākās blakusparādības (kas var rasties līdz 1 no 10 cilvēkiem) ir sāpes vēderā, muskuļu un skeleta sāpes, tīklenes vēnas oklūzija (asins plūsmas aizsprostojums tīklenes, kas ir pret gaismu jutīga membrāna acs aizmugurē, vēnā).

Bērniem visbiežākās *Ezmekly* blakusparādības (kas var rasties vairāk nekā 1 no 3 cilvēkiem) ir paaugstināts kreatīnfosfokināzes līmenis asinīs, caureja, aknei līdzīgs dermatīts, sāpes muskuļos un kaulos, sāpes vēderā, vemšana un galvassāpes. Nopietnas blakusparādības (kas var rasties līdz 1 no 10 cilvēkiem) ir muskuļu un skeleta sāpes.

Kāpēc *Ezmekly* ir reģistrētas ES?

Apstiprināšanas laikā ES tika reģistrētas tikai vienas zāles pleksiformas neurofibromas ārstēšanai bērniem no trīs gadu vecuma ar NF1. *Ezmekly* nodrošina papildu ārstēšanas iespēju un ir pierādīta to efektivitāte bērniem no nedaudz jaunāka vecuma — diviem gadiem — un pieaugušajiem. Tomēr šo zāļu ieguvumu apmērs ir neskaidrs, jo zāles nav salīdzinātas ar citiem ārstēšanas veidiem vai placebo un pacienti tika uzraudzīti mazāk nekā 3 gadus.

Drošuma ziņā lielākā daļa *Ezmekly* blakusparādību bija vieglas līdz mērenas. Tomēr dažas retas, bet nopietnas blakusparādības var ietekmēt acis un sirdi. Ir neskaidrības par to, vai zāles var bojāt DNS un potenciāli veicināt vēža attīstību. Tas tiek risināts, izmantojot atbilstīgu brīdinājumu zāļu aprakstā. Pastāv arī neskaidrības par *Ezmekly* ilgtermiņa drošumu.

Ezmekly ir reģistrētas ar nosacījumiem. Tas nozīmē, ka tās ir reģistrētas, pamatojoties uz mazāk visaptverošiem datiem, nekā parasti tiek pieprasīts, jo tās apmierina aktuālu neapmierinātu medicīnisku vajadzību. Aģentūra uzskata, ka ieguvums, ja zāles ir pieejamas agrāk, atsver visus riskus, kas saistīti ar šo zāļu lietošanu, kamēr tiek gaidīti papildu pierādījumi.

Turklāt uzņēmumam ir jāiesniedz papildu dati par *Ezmekly*. Tai jāiesniedz ilgtermiņa rezultāti no pamatpētījuma par zāļu drošumu un efektivitāti, kā arī rezultāti no pētījuma, kurā novērtē zāļu drošumu, ja tās izmanto klīniskajā praksē. Aģentūra katru gadu pārskatīs visu pieejamo jauno informāciju.

Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Ezmekly* lietošanu?

Zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Ezmekly* lietošanu.

Tāpat kā par visām zālēm, dati par *Ezmekly* lietošanu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Ziņotās ar *Ezmekly* lietošanu saistītās iespējamās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai nepieciešamie pasākumi.

Cita informācija par *Ezmekly*

Sīkāka informācija par *Ezmekly* ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Ezmekly.

Šis kopsavilkums pēdējo reizi atjaunināts 2025. gada jūlijā.