



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ezmekly (*mirdametinib*)

Ħarsa ġenerali lejn Ezmekly u għalfejn huwa awtorizzat fl-UE

X'inhu Ezmekly u għal xiex jintuża?

Ezmekly huwa mediċina li tintuża għat-trattament ta' newrofibromi plexiform, tumuri beninni (mhux kanċerużi) li jikbru tul in-nervituri fl-adulti u fit-tfal li għandhom sentejn u aktar b'newrofibromatożi tat-tip 1 (NF1). Jintuża meta t-tumuri jikkawżaw sintomi (bħal uġigħ u dgħufija) u ma jkunux jistgħu jitneħħew permezz ta' kirurġija.

In-newrofibromatożi hija rari, u Ezmekly ġie denominat bħala "mediċina orfni" (mediċina li tintuża f'mard rari) fil-25 ta' Lulju 2019. Aktar informazzjoni dwar id-denominazzjonijiet orfni tinstab fuq is-[sit web](#) tal-EMA.

Ezmekly fih is-sustanza attiva mirdametinib.

Kif jintuża Ezmekly?

Ezmekly jista' jinkiseb biss b'riċetta ta' tabib u t-trattament għandu jinbeda minn tabib li jkollu esperjenza fid-dijanjożi u fit-trattament ta' pazjenti b'tumuri kkawżati minn NF1.

Ezmekly jiġi bħala kapsuli li għandhom jinbelgħu jew bħala pilloli li jinfirxu li jistgħu jinħallu fl-ilma. Jittieħed darbtejn kuljum, b'intervall ta' 12-il siegħa bejn doża u oħra. Il-pazjenti jieħdu l-mediċina għal 3 ġimgħat u mbagħad jieqfu għal ġimgħa. Dan iċ-ċiklu jiġi ripetut sakemm il-marda tmur għall-aġar jew sakemm l-effetti sekondarji jsiru inaċċettabbli.

Għal aktar informazzjoni dwar l-użu ta' Ezmekly, ara l-fuljett ta' tagħrif jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispjżjar tiegħek.

Kif jaħdem Ezmekly?

Is-sustanza attiva f'Ezmekly, il-mirdametinib, hija molekula żgħira li taħdem billi timblokka proteina msejġha MEK li tgħin tikkontrolla kif iċ-ċelloli jikbru u jissopravvivu. F'persuni b'NF1, il-MEK hija attiva żżejjed, li jwassal għat-tkabbir ta' newrofibromi plexiform fuq iċ-ċelloli tan-nervituri. Billi timblokka l-MEK, il-mirdametinib tgħin biex iċċekken dawn it-tumuri.

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



X'inhuma l-benefiċċji ta' Ezmekly li ħarġu mill-istudji?

Studju ewlieni involva 114-il pazjent li għandhom sentejn u aktar b'newrofibromi plexiform kkawżati minn NF1 li t-tumuri tagħhom ma setgħux jitneħħew b'kirurgija u kkawżaw sintomi. F'dan l-istudju, Ezmekly ma tqabbel mal-ebda trattament ieħor jew placebo (trattament fint).

Il-kejl ewlieni tal-effettività kien il-proporzjon ta' pazjenti li rrispondew għat-trattament b'Ezmekly. Il-pazjenti ġew ikkunsidrati li rrispondew meta ma kien hemm l-ebda sinjal ta' tumuri (rispons sħiħ) jew jekk it-tumuri ċkienu b'mill-inqas 20 % fid-daqs (rispons parzjali), u r-rispons inżamm għal mill-inqas xahrejn sa 6 xhur.

Fit-tfal, 52 % (29 minn 56) kellhom rispons parzjali. Minn dawn, 90 % żammew ir-rispons tagħhom għal mill-inqas 12-il xahar, u 48 % għal mill-inqas 24 xahar.

Fl-adulti, 41 % (24 minn 58) kellhom rispons parzjali. Minn dawn, 88 % żammew ir-rispons tagħhom għal mill-inqas 12-il xahar, u 50 % għal mill-inqas 24 xahar.

X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Ezmekly?

Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji u r-restrizzjonijiet b'Ezmekly, ara l-fuljett ta' tagħrif.

Fl-adulti, l-effetti sekondarji l-aktar komuni b'Ezmekly (li jistgħu jaffettwaw aktar minn persuna 1 minn kull 3) jinkludu dermatite akneiformi (infjammazzjoni tal-ġilda li tixbah lill-akne), dijarea, nawżja (thossok ma tiflaħx), livelli għoljin fid-demmi tal-enzima kreatina fosfokinasi, uġiġ muskuloskeletal (uġiġ fil-muskoli u l-għadam), rimettar u għeja. L-effetti sekondarji b'Ezmekly jistgħu jkun serji. L-aktar frekwenti (li jistgħu jaffettwaw sa persuna 1 minn kull 10) jinkludu wġiġ addominali (fiż-żaqq), uġiġ muskuloskeletal u okklużjoni tal-vina tar-retina (imblukkar tal-fluss tad-demmi fil-vina tar-retina, il-membrana sensitiva għad-dawl fuq wara tal-għajnejn).

Fit-tfal, l-effetti sekondarji l-aktar komuni b'Ezmekly (li jistgħu jaffettwaw aktar minn persuna 1 minn kull 3) jinkludu livelli għoljin ta' kreatina fosfokinasi, dijarea, dermatite akneiformi, uġiġ muskuloskeletal, uġiġ addominali, rimettar u wġiġ ta' ras. Effetti sekondarji serji (li jistgħu jaffettwaw sa persuna 1 minn kull 10) jinkludu wġiġ muskuloskeletal.

Għaliex Ezmekly ġie awtorizzat fl-UE?

Fiż-żmien tal-approvazzjoni, ġiet awtorizzata mediċina waħda biss fl-UE għan-newrofibromi plexiform, fi tfal ta' tliet snin u aktar b'NF1. Ezmekly jipprovdi għażla ta' trattament addizzjonali u ntwera li huwa effettiv fit-tfal minn età kemxejn iżgħar – sentejn – u fl-adulti. Madankollu, il-firxa tal-benefiċċji tiegħu hija incerta, peress li l-mediċina ma tqabbel mal-ebda trattament jew placebo ieħor, u l-pazjenti ġew segwiti għal inqas minn tliet snin.

F'termini ta' sigurtà, il-parti l-kbira tal-effetti sekondarji li deħru b'Ezmekly kienu ħfief sa moderati. Madankollu, xi effetti sekondarji rari iżda serji jistgħu jaffettwaw l-għajnejn u l-qalb. Hemm incertezzi dwar jekk il-mediċina tistax tagħmel ħsara lid-DNA u potenzjalment tikkontribwixxi għall-iżvilupp tal-kancer. Dan huwa indirizzat permezz ta' twissija adegwata fl-informazzjoni dwar il-prodott. Hemm ukoll incertezzi rigward is-sigurtà fit-tul ta' Ezmekly.

Ezmekly ingħata awtorizzazzjoni kondizzjonali. Dan ifisser li ġie awtorizzat abbażi ta' *data* inqas komprensiva minn dik normalment meħtieġa minhabba li jissodisfa ħtieġa medika mhux issodisfata. L-Aġenzija tqis li l-benefiċċju li l-mediċina tkun disponibbli aktar kmieni huwa akbar minn kwalunkwe riskju assoċjat mal-użu tagħha waqt l-istennija għal aktar evidenza.

Barra minn hekk, il-kumpanija għandha tipprovdi aktar *data* dwar Ezmekly. Għandha tissottometti riżultati fit-tul mill-istudju ewlieni dwar is-sigurtà u l-effettività tal-medicina, kif ukoll riżultati minn studju li jivvaluta s-sigurtà tagħha meta tintuża fil-prattika klinika. Kull sena, l-Aġenzija se tirrieżamina kwalunkwe informazzjoni ġdida li ssir disponibbli.

X'miżuri qegħdin jittieħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Ezmekly?

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif ġew inklużi r-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzzjonijiet li għandhom ikunu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Ezmekly.

Bħal fil-każ tal-medicini kollha, id-*data* dwar l-użu ta' Ezmekly hija ssorveljata kontinwament. L-effetti sekondarji ssuspettati rrapportati b'Ezmekly huma evalwati bir-reqqa u kull azzjoni meħtieġa hi meħuda biex tippoteġi lill-pazjenti.

Informazzjoni oħra dwar Ezmekly

Aktar informazzjoni dwar Ezmekly tinstab fis-sit web tal-Aġenzija:

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

Din il-ħarsa ġenerali ġiet aġġornata l-aħħar f'07-2025.