



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ezmekly (*mirdametinib*)

Een overzicht van Ezmekly en waarom het is geregistreerd in de EU

Wat is Ezmekly en wanneer wordt het voorgeschreven?

Ezmekly is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor de behandeling van plexiforme neurofibromen, goedaardige (niet-cancereuze) tumoren die langs zenuwen groeien bij volwassenen en kinderen van 2 jaar en ouder met neurofibromatose type 1 (NF1). Het middel wordt gebruikt wanneer de tumoren symptomen (zoals pijn en zwakte) veroorzaken en niet operatief kunnen worden verwijderd.

Neurofibromatose is zeldzaam en Ezmekly is op 25 juli 2019 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel is te vinden op de [website](#) van het Europees Geneesmiddelenbureau.

Ezmekly bevat de werkzame stof mirdametinib.

Hoe wordt Ezmekly gebruikt?

Ezmekly is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en de behandeling moet worden gestart door een arts die ervaring heeft met de diagnose en behandeling van patiënten met tumoren veroorzaakt door NF1.

Ezmekly is verkrijgbaar in de vorm van capsules die kunnen worden ingeslikt of dispergeerbare tabletten die in water kunnen worden gedispergeerd. Het middel wordt tweemaal daags ingenomen, met een tussenpoos van twaalf uur. Patiënten nemen het geneesmiddel 3 weken in en stoppen daarna 1 week. Deze cyclus wordt herhaald totdat de ziekte verergert of de bijwerkingen onaanvaardbaar worden.

Raadpleeg de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Ezmekly.

Hoe werkt Ezmekly?

De werkzame stof in Ezmekly, mirdametinib, is een klein molecuul dat werkt door het eiwit MEK te blokkeren. MEK helpt om de groei en overleving van cellen te reguleren. Bij mensen met NF1 is MEK overactief, wat leidt tot de groei van plexiforme neurofibromen op zenuwcellen. Door MEK te blokkeren, helpt mirdametinib deze tumoren te laten slinken.

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



Welke voordelen bleek Ezmekly tijdens de studies te hebben?

Een hoofdstudie betrof 114 patiënten van 2 jaar en ouder met plexiforme neurofibromen veroorzaakt door NF1 bij wie de tumoren niet operatief konden worden verwijderd en symptomen veroorzaakten. In deze studie werd Ezmekly niet vergeleken met een andere behandeling of placebo (een schijnbehandeling).

De belangrijkste graadmeter voor de werkzaamheid was het percentage patiënten dat reageerde op de behandeling met Ezmekly. Patiënten werden geacht te hebben gereageerd als er geen tekenen van tumoren waren (volledige respons) of als de tumoren met ten minste 20 % in omvang waren geslonken (gedeeltelijke respons), en de respons gedurende ten minste 2 tot 6 maanden aanhield.

Bij kinderen vertoonde 52 % (29 van de 56) een gedeeltelijke respons. Bij 90 % van deze patiënten hield de respons ten minste 12 maanden aan en bij 48 % ten minste 24 maanden.

Bij volwassenen had 41 % (24 van de 58) een gedeeltelijke respons. Bij 88 % van deze patiënten hield de respons ten minste 12 maanden aan en bij 50 % ten minste 24 maanden.

Welke risico's houdt het gebruik van Ezmekly in?

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van de bijwerkingen van en beperkende voorwaarden voor Ezmekly.

Bij volwassenen zijn de meest voorkomende bijwerkingen van Ezmekly (die bij meer dan 1 op de 3 personen kunnen optreden) acneïforme dermatitis (ontsteking van de huid die op acne lijkt), diarree, misselijkheid, verhoogde bloedconcentraties van het enzym creatinefosfokinase, musculoskeletale pijn (pijn in de spieren en botten), braken en vermoeidheid. Bijwerkingen van Ezmekly kunnen ernstig zijn. De meest voorkomende bijwerkingen (die bij maximaal 1 op de 10 personen kunnen optreden) zijn buikpijn, musculoskeletale pijn en retinale veneuze occlusie (een afsluiting van de bloedstroom in een ader van het netvlies, het lichtgevoelige membraan aan de achterkant van het oog).

Bij kinderen zijn de meest voorkomende bijwerkingen van Ezmekly (die bij meer dan 1 op de 3 personen kunnen optreden) verhoogde bloedconcentraties creatinefosfokinase, diarree, acneïforme dermatitis, musculoskeletale pijn, buikpijn, braken en hoofdpijn. Ernstige bijwerkingen (die bij maximaal 1 op de 10 personen kunnen optreden) zijn onder meer musculoskeletale pijn.

Waarom is Ezmekly geregistreerd in de EU?

Ten tijde van de goedkeuring was er in de EU slechts één geneesmiddel toegelaten voor plexiforme neurofibromen, bij kinderen van drie jaar en ouder met NF1. Ezmekly biedt een aanvullende behandelingsoptie en is werkzaam gebleken bij kinderen vanaf vrij jongere leeftijd (twee jaar) en bij volwassenen. De omvang van de voordelen ervan is echter onzeker, aangezien het geneesmiddel niet met een andere behandeling of placebo is vergeleken en patiënten minder dan drie jaar lang werden gevolgd.

Wat de veiligheid betreft, waren de meeste bijwerkingen die bij Ezmekly werden waargenomen licht tot matig van aard. Sommige zeldzame maar ernstige bijwerkingen kunnen echter de ogen en het hart aantasten. Er bestaat onzekerheid over de vraag of het geneesmiddel DNA kan beschadigen en mogelijk kan bijdragen tot de ontwikkeling van kanker. Dit wordt aangepakt door middel van een adequate waarschuwing in de productinformatie. Daarnaast bestaat er onzekerheid over de veiligheid van Ezmekly op lange termijn.

Aan Ezmekly is 'voorwaardelijke registratie' verleend. Dit betekent dat het middel is toegelaten op basis van minder volledige gegevens dan gewoonlijk, omdat het voldoet aan een onvervulde medische

behoefte. Het Geneesmiddelenbureau is van mening dat het voordeel van het in een vroeger stadium verkrijgbaar zijn van het geneesmiddel groter is dan de risico's die gepaard gaan met het gebruik ervan in afwachting van verder bewijs.

Daarnaast moet het bedrijf nadere gegevens over Ezmekly overleggen. Het moet langetermijnresultaten van de hoofdstudie naar de veiligheid en werkzaamheid van het geneesmiddel indienen, alsook resultaten van een studie ter beoordeling van de veiligheid van het geneesmiddel bij gebruik in de klinische praktijk. Het Geneesmiddelenbureau zal jaarlijks eventuele nieuw beschikbare informatie beoordelen.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Ezmekly te waarborgen?

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Ezmekly, zijn opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Ezmekly continu gevolgd. Vermoedelijke bijwerkingen waargenomen voor Ezmekly worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig worden maatregelen getroffen om patiënten te beschermen.

Overige informatie over Ezmekly

Meer informatie over Ezmekly is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Ezmekly.

Dit overzicht is voor het laatst bijgewerkt in 07-2025.