



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ezmekly (*mirdametynib*)

Przegląd wiedzy na temat leku Ezmekly i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Czym jest lek Ezmekly i w jakim celu się go stosuje

Ezmekly jest lekiem stosowanym w leczeniu nerwiakowłókniaków splotowatych — łagodnych (niezłośliwych) guzów, które rozwijają się wzdłuż nerwów u osób dorosłych i dzieci w wieku od 2 lat chorych na nerwiakowłókniać typu 1 (NF1). Lek stosuje się wtedy, gdy guzy powodują objawy (takie jak ból i osłabienie) i nie można ich usunąć chirurgicznie.

Ze względu na to, że nerwiakowłókniać jest chorobą rzadko występującą, w dniu 25 lipca 2019 r. lek Ezmekly uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierocę można znaleźć na [stronie internetowej](#) EMA.

Substancją czynną zawartą w leku Ezmekly jest mirdametynib.

Jak stosować lek Ezmekly

Lek wydawany na receptę. Leczenie powinien rozpoczynać lekarz z doświadczeniem w diagnostyce i leczeniu pacjentów z guzami wywołanymi przez NF1.

Lek Ezmekly jest dostępny w postaci kapsułek do połykania lub tabletek do sporządzania zawiesiny doustnej, które można rozpuścić w wodzie. Lek przyjmuje się dwa razy na dobę, w odstępie 12 godzin. Pacjenci przyjmują lek przez 3 tygodnie, a następnie przerywają leczenie na 1 tydzień. Cykl ten powtarza się, dopóki choroba się nie nasili lub działania niepożądane nie staną się nieakceptowalne.

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Ezmekly znajduje się w Ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

Jak działa lek Ezmekly

Substancja czynna leku Ezmekly, mirdametynib, jest małą cząsteczką, która blokuje białko o nazwie MEK uczestniczące w kontroli wzrostu i przeżycia komórek. U osób z NF1 białko MEK jest nadaktywne, co prowadzi do powstawania nerwiakowłókniaków splotowatych na komórkach nerwowych. Dzięki blokowaniu MEK mirdametynib pomaga zmniejszyć rozmiary tych guzów.

Official address Domenico Scarlatilaan 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



Korzyści ze stosowania leku Ezmekly wykazane w badaniach

W badaniu głównym uczestniczyło 114 pacjentów w wieku od 2 lat z nerwiakowłókniakami spłotowatymi spowodowanymi przez NF1, u których guzy nie mogły zostać usunięte chirurgicznie i wywoływały objawy. W badaniu tym leku Ezmekly nie porównywano z żadnym innym leczeniem ani z placebo (leczeniem pozorowanym).

Głównym kryterium oceny skuteczności był odsetek pacjentów, którzy wykazywali odpowiedź na lek Ezmekly. Odpowiedź na leczenie stwierdzano wówczas, gdy nie było oznak guzów (odpowiedź całkowita) lub wielkość guzów zmniejszyła się o co najmniej 20% (odpowiedź częściowa), a stan ten utrzymywał się przez co najmniej 2–6 miesięcy.

Spośród dzieci odpowiedź częściowa wystąpiła u 52% (29 z 56) pacjentów. U 90% z nich odpowiedź utrzymywała się przez co najmniej 12 miesięcy, a u 48% — przez co najmniej 24 miesiące.

Spośród osób dorosłych odpowiedź częściowa wystąpiła u 41% (24 z 58) pacjentów. U 88% z nich odpowiedź utrzymywała się przez co najmniej 12 miesięcy, a u 50% — przez co najmniej 24 miesiące.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Ezmekly

Pełny wykaz działań niepożądanych i ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Ezmekly znajduje się w Ulotce dla pacjenta.

U osób dorosłych najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Ezmekly (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 3 pacjentów) to: trądzikopodobne zapalenie skóry (stan zapalny skóry przypominający trądzik), biegunka, nudności (mdłości), podwyższone stężenie enzymu fosfokinazy kreatynowej we krwi, ból mięśniowo-szkieletowy (ból mięśni i kości), wymioty i zmęczenie. Działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Ezmekly mogą być poważne. Najczęstsze (mogące wystąpić u 1 na 10 pacjentów) to: ból brzucha, ból mięśniowo-szkieletowy i niedrożność żyły siatkówki (zablokowanie przepływu krwi w żyłę w siatkówce, czyli wrażliwej na światło błonie w tylnej części oka).

U dzieci najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Ezmekly (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 3 pacjentów) to: podwyższone stężenie fosfokinazy kreatynowej we krwi, biegunka, trądzikopodobne zapalenie skóry, ból mięśniowo-szkieletowy, ból brzucha, wymioty i ból głowy. Poważne działania niepożądane (mogące wystąpić u 1 na 10 pacjentów) obejmują ból mięśniowo-szkieletowy.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Ezmekly w UE

W UE, w momencie dopuszczenia leku do obrotu, istniał tylko jeden dopuszczony lek na nerwiakowłóknaki spłotowate u dzieci w wieku od 3 lat z NF1. Lek Ezmekly to dodatkowa opcja leczenia o dowiedzonej skuteczności u dzieci od nieco młodszego wieku — 2 lat — i u osób dorosłych. Zakres korzyści z jego stosowania jest jednak niepewny, ponieważ leku nie porównywano z żadnym innym leczeniem ani z placebo, a pacjentów obserwowano przez mniej niż 3 lata.

Jeśli chodzi o bezpieczeństwo, większość działań niepożądanych związanych ze stosowaniem leku Ezmekly miała nasilenie łagodne lub umiarkowane. Są jednak wśród nich rzadkie, ale poważne działania niepożądane, które mogą mieć wpływ na oczy i serce. Nie ma pewności, czy lek mógłby uszkadzać DNA i potencjalnie przyczyniać się do rozwoju nowotworu. Uwzględniono to przez zamieszczenie odpowiedniego ostrzeżenia w drukach informacyjnych. Nie ma również pewności co do długoterminowego bezpieczeństwa stosowania leku Ezmekly.

Lek Ezmekly uzyskał warunkowe dopuszczenie do obrotu. Oznacza to, że lek został dopuszczony do obrotu na podstawie mniej wyczerpujących danych niż te, które są zwykle wymagane, ponieważ spełnia niezaspokojoną potrzebę medyczną. Agencja uważa, że korzyści z wcześniejszego udostępnienia leku przewyższają ryzyko związane z jego stosowaniem w oczekiwaniu na dalsze dowody.

Ponadto firma musi dostarczyć więcej danych dotyczących leku Ezmekly. Musi ona przedstawić długoterminowe wyniki badania głównego dotyczącego bezpieczeństwa i skuteczności leku, a także wyniki badania oceniającego bezpieczeństwo jego stosowania w praktyce klinicznej. Co roku Agencja dokona przeglądu wszelkich nowych informacji, które będą dostępne.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Ezmekly

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Ezmekly w Charakterystyce Produktu Leczniczego i w Ulotce dla pacjenta zawarto zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Ezmekly są stale monitorowane. Podejrzewane działania niepożądane leku Ezmekly są starannie oceniane i podejmowane są wszelkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Ezmekly

Dalsze informacje dotyczące leku Ezmekly znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Ezmekly.

Data ostatniej aktualizacji: 07.2025.