



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ezmekly (*mirdametinib*)

Um resumo sobre Ezmekly e por que está autorizado na UE

O que é Ezmekly e para que é utilizado?

Ezmekly é um medicamento utilizado no tratamento de neurofibromas plexiformes, tumores benignos (não cancerígenos) que crescem ao longo dos nervos em adultos e crianças com idade igual ou superior a 2 anos com neurofibromatose tipo 1 (NF1). É utilizado quando os tumores causam sintomas (tais como dor e fraqueza) e não podem ser removidos por cirurgia.

A neurofibromatose é uma doença rara, e Ezmekly foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 25 de julho de 2019. Estão disponíveis mais informações sobre a designação de medicamento órfão no [sítio Web](#) da EMA.

Ezmekly contém a substância ativa mirdametinib.

Como se utiliza Ezmekly?

Ezmekly só pode ser obtido mediante receita médica e o tratamento deve ser iniciado por um médico com experiência no diagnóstico e tratamento de doentes com tumores causados pelo NF1.

Ezmekly está disponível na forma de cápsulas para engolir ou de comprimidos dispersíveis que podem ser dispersos em água. É tomado duas vezes por dia, com um intervalo de 12 horas. Os doentes tomam o medicamento durante 3 semanas e, em seguida, param durante 1 semana. Este ciclo é repetido até que a doença piore ou os efeitos secundários se tornem inaceitáveis.

Para mais informações sobre a utilização de Ezmekly, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

Como funciona Ezmekly?

A substância ativa de Ezmekly, o mirdametinib, é uma pequena molécula que atua bloqueando uma proteína chamada MEK que ajuda a controlar o crescimento e a sobrevivência das células. Nas pessoas com NF1, o MEK é excessivamente ativo, conduzindo ao crescimento de neurofibromas plexiformes nas células nervosas. Ao bloquear a MEK, o mirdametinib ajuda a diminuir estes tumores.

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



Quais os benefícios demonstrados por Ezmekly durante os estudos?

Um estudo principal incluiu 114 doentes com idade igual ou superior a 2 anos com neurofibromas plexiformes causados pela NF1 cujos tumores não podiam ser removidos através de cirurgia e causavam sintomas. Neste estudo, Ezmekly não foi comparado com nenhum outro tratamento nem placebo (um tratamento simulado).

O principal parâmetro de eficácia foi a percentagem de doentes que responderam ao tratamento com Ezmekly. Considerou-se que os doentes responderam quando não havia sinais de tumores (resposta completa) ou se o tamanho dos tumores diminuía pelo menos 20 % (resposta parcial), tendo a resposta sido mantida durante, pelo menos, 2 a 6 meses.

Em crianças, 52 % (29 em 56) apresentaram uma resposta parcial. Destes, 90 % mantiveram a sua resposta durante, pelo menos, 12 meses e 48 % durante, pelo menos, 24 meses.

Em adultos, 41 % (24 em 58) apresentaram uma resposta parcial. Destes, 88 % mantiveram a sua resposta durante, pelo menos, 12 meses e 50 % durante, pelo menos, 24 meses.

Quais são os riscos associados a Ezmekly?

Para a lista completa de efeitos secundários e de restrições de utilização de Ezmekly, consulte o Folheto Informativo.

Em adultos, os efeitos secundários mais frequentes associados a Ezmekly (que podem afetar mais de 1 em cada 3 pessoas) incluem dermatite acneiforme (inflamação da pele que se assemelha ao acne), diarreia, náuseas (sensação de enjoo), níveis sanguíneos elevados da enzima creatina fosfoquinase, dor musculoesquelética (dor nos músculos e nos ossos), vômitos e fadiga. Os efeitos secundários associados a Ezmekly podem ser graves. Os mais frequentes (que podem afetar 1 em cada 10 pessoas) incluem dor abdominal (dor de barriga), dor musculoesquelética e oclusão da veia retiniana (bloqueio do fluxo de sangue numa veia da retina, a membrana sensível à luz na parte de trás do olho).

Em crianças, os efeitos secundários mais frequentes associados a Ezmekly (que podem afetar mais de 1 em cada 3 pessoas) incluem níveis elevados de creatina fosfoquinase no sangue, diarreia, dermatite acneiforme, dor musculoesquelética, dor abdominal, vômitos e dor de cabeça. Os efeitos secundários graves (que podem afetar 1 em cada 10 pessoas) incluem dor musculoesquelética.

Por que está Ezmekly autorizado na UE?

No momento da aprovação, apenas um medicamento estava autorizado na UE para neurofibromas plexiformes, em crianças com idade igual ou superior a três anos com NF1. Ezmekly proporciona uma opção de tratamento adicional e demonstrou ser eficaz em crianças a partir de uma idade ligeiramente mais baixa — dois anos — e em adultos. No entanto, a extensão dos seus benefícios é incerta, uma vez que o medicamento não foi comparado com nenhum outro tratamento nem placebo e os doentes foram acompanhados durante menos de 3 anos.

Em termos de segurança, a maioria dos efeitos secundários observados com Ezmekly foram ligeiros a moderados. No entanto, alguns efeitos secundários raros, mas graves, podem afetar os olhos e o coração. Existem incertezas quanto à possibilidade de o medicamento danificar o ADN e contribuir potencialmente para o desenvolvimento do cancro. Esta questão é abordada através de uma advertência adequada na informação do medicamento. Existem também incertezas quanto à segurança a longo prazo de Ezmekly.

Foi concedida a Ezmekly uma autorização condicional. Isto significa que o medicamento foi autorizado com base em dados menos completos do que os normalmente exigidos, uma vez que preenche uma necessidade médica por satisfazer. A Agência considera que os benefícios de ter o medicamento disponível mais cedo são superiores a quaisquer riscos associados à sua utilização enquanto se aguardam mais evidências.

Além disso, a empresa deve fornecer dados adicionais sobre Ezmekly. Deve apresentar os resultados a longo prazo do estudo principal sobre a segurança e a eficácia do medicamento, bem como os resultados de um estudo que avalie a sua segurança quando utilizado na prática clínica. A Agência procederá, anualmente, à análise de novas informações disponíveis.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Ezmekly?

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Ezmekly.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Ezmekly são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Ezmekly são cuidadosamente avaliados e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger os doentes.

Outras informações sobre Ezmekly

Estão disponíveis mais informações sobre o medicamento no sítio Web da Agência.

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

Este resumo foi atualizado pela última vez em 07-2025.