



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ezmekly (*mirdametinib*)

Prezentare generală a Ezmekly și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Ezmekly și pentru ce se utilizează?

Ezmekly este un medicament care se utilizează pentru tratarea neurofibromelor plexiforme, tumori benigne (necanceroase) care cresc de-a lungul nervilor la adulți și copii cu vârsta de cel puțin 2 ani cu neurofibromatoză de tip 1 (NF1). Se utilizează când tumorile cauzează simptome (cum ar fi durere și slăbiciune) și nu pot fi operate.

Neurofibromatoza este rară, iar Ezmekly a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament utilizat în boli rare) la 25 iulie 2019. Mai multe informații despre medicamentele desemnate orfane se pot găsi pe [site-ul](#) EMA.

Ezmekly conține substanța activă mirdametinib.

Cum se utilizează Ezmekly?

Ezmekly se poate obține numai pe bază de prescripție medicală, iar tratamentul trebuie inițiat de un medic cu experiență în diagnosticul și tratamentul pacienților cu tumori cauzate de NF1.

Ezmekly este disponibil sub formă de capsule care se înghit sau comprimate dispersabile care pot fi dispersate în apă. Se ia de două ori pe zi, la interval de 12 ore. Pacienții iau medicamentul timp de 3 săptămâni și apoi se opresc 1 săptămână. Acest ciclu se repetă până când boala se agravează sau reacțiile adverse devin inacceptabile.

Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Ezmekly, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

Cum acționează Ezmekly?

Substanța activă din Ezmekly, mirdametinibul, este o mică moleculă care acționează blocând o proteină, numită MEK, care ajută la controlul modului de creștere și supraviețuire a celulelor. La oamenii cu NF1, MEK este hiperactivă, ceea ce duce la apariția de neurofibroame plexiforme pe celulele nervoase. Blocând MEK, mirdametinibul contribuie la reducerea acestor tumori.

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



Ce beneficii a prezentat Ezmekly pe parcursul studiilor?

Un studiu principal a cuprins 114 pacienți cu vârsta de cel puțin 2 ani cu neurofibroame plexiforme cauzate de NF1 la care tumorile nu puteau fi operate și care cauzau simptome. În acest studiu, Ezmekly nu a fost comparat cu alt tratament sau cu placebo (un preparat inactiv).

Principală măsură a eficacității a fost procentul de pacienți care au răspuns la tratamentul cu Ezmekly. S-a considerat că pacienții au răspuns la tratament când nu au existat semne de tumori (răspuns complet) sau dacă tumorile s-au micșorat cu cel puțin 20 % (răspuns parțial), iar răspunsul s-a menținut cel puțin 2-6 luni.

La copii, 52 % (29 din 56) au avut un răspuns parțial. Dintre aceștia, 90 % și-au menținut răspunsul cel puțin 12 luni, iar 48 % cel puțin 24 de luni.

La adulți, 41 % (24 din 58) au avut un răspuns parțial. Dintre aceștia, 88 % și-au menținut răspunsul cel puțin 12 luni, iar 50 % cel puțin 24 de luni.

Care sunt riscurile asociate cu Ezmekly?

Pentru lista completă a reacțiilor adverse și a restricțiilor asociate cu Ezmekly, citiți prospectul.

La adulți, cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Ezmekly (care pot afecta mai mult de 1 persoană din 3) sunt dermatită acneiformă (inflamație a pielii asemănătoare acneei), diaree, greață, niveluri mari în sânge ale enzimei creatin-fosfokinază, dureri musculoscheletice (dureri de mușchi și de oase), vărsături și oboseală. Reacțiile adverse asociate cu Ezmekly pot fi grave. Cele mai frecvente (care pot afecta până la 1 persoană din 10) sunt dureri abdominale (de burtă), dureri musculoscheletice și ocluzia venei retinale (blocaj al fluxului sanguin în vena retinei, membrana sensibilă la lumină din spatele ochiului).

La copii și adolescenți, cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Ezmekly (care pot afecta mai mult de 1 persoană din 3) sunt concentrații mari în sânge de creatină fosfokinază, diaree, dermatită acneiformă, dureri musculoscheletice, dureri abdominale, vărsături și dureri de cap. Reacțiile adverse grave (care pot afecta cel mult 1 persoană din 10) sunt dureri musculoscheletice.

De ce a fost autorizat Ezmekly în UE?

La momentul aprobării, pentru neurofibroamele plexiforme era autorizat în UE un singur medicament, la copii cu NF1 cu vârsta de cel puțin trei ani. Ezmekly oferă o opțiune de tratament suplimentară și s-a dovedit eficace la copii de la o vârstă puțin mai mică – doi ani – și la adulți. Amploarea beneficiilor sale este însă incertă, deoarece medicamentul nu a fost comparat cu alt tratament sau cu placebo, iar pacienții au fost urmăriți mai puțin de 3 ani.

În ce privește siguranța, majoritatea reacțiilor adverse observate la Ezmekly au fost ușoare până la moderate. Unele reacții adverse rare, dar grave, pot afecta însă ochii și inima. Există incertitudini cu privire la o eventuală deteriorare a ADN-ului care ar putea contribui la apariția cancerului. Acest aspect este abordat printr-o atenționare adecvată din informațiile referitoare la medicament. De asemenea, există incertitudini cu privire la siguranța pe termen lung a Ezmekly.

Ezmekly a primit autorizare condiționată. Acest lucru înseamnă că medicamentul a fost autorizat pe baza unor date mai puțin cuprinzătoare decât cele solicitate în mod normal pentru că îndeplinește o nevoie medicală nesatisfăcută. Agenția consideră că beneficiile disponibilității timpurii a medicamentului sunt mai mari decât riscurile asociate cu utilizarea lui în așteptarea de dovezi suplimentare.

În plus, compania trebuie să furnizeze date suplimentare despre Ezmekly. Trebuie să prezinte rezultatele pe termen lung ale studiului principal privind siguranța și eficacitatea medicamentului, precum și rezultatele unui studiu de evaluare a siguranței medicamentului când este utilizat în practica clinică. În fiecare an, agenția va analiza informațiile nou apărute.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Ezmekly?

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Ezmekly, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Ezmekly sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse suspectate raportate pentru Ezmekly sunt evaluate cu atenție și sunt luate toate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Ezmekly

Mai multe informații despre Ezmekly se pot găsi pe site-ul agenției:

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

Această prezentare generală a fost actualizată ultima dată în 07-2025.