



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ezmekly (*mirdametinib*)

Prehľad o lieku Ezmekly a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Ezmekly a na čo sa používa?

Ezmekly je liek, ktorý sa používa na liečbu plexiformných neurofibrómov, benígnych (nerakovinových) nádorov, ktoré rastú pozdĺž nervov u dospelých a detí vo veku od 2 rokov s neurofibromatózou typu 1 (NF1). Používa sa, ak nádory spôsobujú symptómy (ako je bolesť a slabosť) a nie je možné ich chirurgicky odstrániť.

Neurofibromatóza je zriedkavá, a preto bol liek Ezmekly 25. júla 2019 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia. Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia sa nachádzajú na [webovej stránke](#) agentúry EMA.

Liek Ezmekly obsahuje liečivo mirdametinib.

Ako sa liek Ezmekly používa?

Výdaj lieku Ezmekly je viazaný na lekársky predpis a liečbu má začať lekár, ktorý má skúsenosti s diagnostikou a liečbou pacientov s nádormi spôsobenými NF1.

Liek Ezmekly je dostupný vo forme kapsúl na prehĺtnutie alebo dispergovateľných tabliet, ktoré sa môžu rozpustiť vo vode. Liek sa užíva dvakrát denne v časovom odstupe 12 hodín. Pacienti užívajú liek 3 týždne a potom užívanie prerušia na 1 týždeň. Tento cyklus sa opakuje dovtedy, kým sa ochorenie nezhorší alebo kým sa vedľajšie účinky nestanú neprijateľnými.

Viac informácií o používaní lieku Ezmekly si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárničku.

Akým spôsobom liek Ezmekly účinkuje?

Liečivo lieku Ezmekly, mirdametinib, je malá molekula, ktorá pôsobí tak, že blokuje proteín nazývaný MEK, ktorý pomáha kontrolovať rast a prežitie buniek. U osôb s NF1 je MEK nadmerne aktívny, čo vedie k rastu plexiformných neurofibrómov na nervových bunkách. Zablokovaním MEK mirdametinib pomáha zmenšiť tieto nádory.

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



Aké prínosy lieku Ezmekly boli preukázané v štúdiách?

Na hlavnej štúdii sa zúčastnilo 114 pacientov vo veku od 2 rokov s plexiformnými neurofibrómami spôsobenými NF1, ktorých nádory nebolo možné chirurgicky odstrániť a ktoré spôsobovali príznaky. V tejto štúdii sa liek Ezmekly neporovnával so žiadnou inou liečbou ani s placebom (zdanlivým liekom).

Hlavným meradlom účinnosti bol podiel pacientov, ktorí odpovedali na liečbu liekom Ezmekly. Pacienti sa považovali za pacientov, ktorí odpovedali na liečbu, ak sa neobjavili žiadne príznaky nádorov (úplná odpoveď), alebo ak sa nádory zmenšili najmenej o 20 % (čiastočná odpoveď) a odpoveď sa udržala najmenej 2 až 6 mesiacov.

U detí dosiahlo čiastočnú odpoveď 52 % (29 z 56). Z nich u 90 % sa zachovala odpoveď aspoň 12 mesiacov a u 48 % aspoň 24 mesiacov.

U dospelých sa čiastočná odpoveď dosiahla u 41 % (24 z 58). Z nich u 88 % sa zachovala odpoveď aspoň 12 mesiacov a u 50 % aspoň 24 mesiacov.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Ezmekly?

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Ezmekly a zoznam všetkých obmedzení sa nachádzajú v písomnej informácii pre používateľa.

U dospelých najčastejšie vedľajšie účinky lieku Ezmekly (ktoré môžu postihnúť viac ako 1 osobu z 3) sú akneiformná dermatitída (zápal kože pripomínajúci akné), hnačka, nauzea (pocit nevoľnosti), zvýšená hladina enzýmu kreatín-fosfokinázy v krvi, muskuloskeletálna bolesť (bolesť svalov a kostí), vracanie a únava. Vedľajšie účinky lieku Ezmekly môžu byť závažné. Najčastejšie vedľajšie účinky (ktoré môžu postihnúť až 1 osobu z 10) sú abdominálna (brušná) bolesť, muskuloskeletálna bolesť a oklúzia retinálnej žily (blokovanie prietoku krvi v žile sietnice, membráne citlivej na svetlo v zadnej časti oka).

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Ezmekly (ktoré môžu postihnúť viac ako 1 osobu z 3) u detí sú zvýšená hladina kreatín-fosfokinázy v krvi, hnačka, akneiformná dermatitída, muskuloskeletálna bolesť, bolesť brucha, vracanie a bolesť hlavy. Medzi závažné vedľajšie účinky (ktoré môžu postihnúť až 1 osobu z 10) patrí muskuloskeletálna bolesť.

Prečo bol liek Ezmekly povolený v EÚ?

V čase schválenia lieku bol v EÚ povolený len jeden liek na liečbu plexiformných neurofibrómov, a to u detí vo veku od 3 rokov s NF1. Liek Ezmekly poskytuje ďalšiu možnosť liečby a preukázalo sa, že je účinný u detí od mierne mladšieho veku – 2 rokov – a u dospelých. Rozsah prínosov lieku je však neistý, pretože liek sa neporovnával so žiadnou inou liečbou ani s placebom a pacienti boli sledovaní menej ako 3 roky.

Pokiaľ ide o bezpečnosť, väčšina vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Ezmekly bola mierna až stredne závažná. Niektoré zriedkavé, ale závažné vedľajšie účinky však môžu postihnúť oči a srdce. Existujú pochybnosti o tom, či by liek mohol poškodiť DNA a potenciálne prispieť k vzniku rakoviny. To sa rieši prostredníctvom náležitého upozornenia v informáciách o lieku. Existujú aj nejasnosti, pokiaľ ide o dlhodobú bezpečnosť lieku Ezmekly.

Liek Ezmekly bol povolený s podmienkou. To znamená, že bol povolený na základe menej komplexných údajov, než sa bežne požaduje, pretože napĺňa dovtedy nenaplnenú liečebnú potrebu. Agentúra sa domnieva, že prínos skoršieho sprístupnenia lieku je väčší ako všetky riziká spojené s jeho používaním, kým sa čaká na ďalšie dôkazy.

Okrem toho musí spoločnosť poskytnúť ďalšie údaje o lieku Ezmekly. Musí predložiť dlhodobé výsledky hlavnej štúdie o bezpečnosti a účinnosti lieku, ako aj výsledky štúdie posudzujúcej jeho bezpečnosť pri používaní v klinickej praxi. Agentúra každý rok prehodnocuje všetky nové dostupné informácie.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Ezmekly?

Na bezpečné a účinné užívanie lieku Ezmekly boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotníci pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Ezmekly sa neustále kontrolujú. Podozrenia na vedľajšie účinky hlásené pri lieku Ezmekly sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Ezmekly

Ďalšie informácie o lieku Ezmekly sa nachádzajú na webovej stránke agentúry:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Ezmekly.

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 07-2025