



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ezmekly (*mirdametinib*)

Pregled zdravila Ezmekly in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Ezmekly in za kaj se uporablja?

Ezmekly je zdravilo, ki se uporablja za zdravljenje pleksiformnih neurofibromov, tj. benignih (nerakavih) tumorjev, ki rastejo vzdolž živcev pri odraslih in otrocih, starejših od dveh let, z neurofibromatozo tipa 1 (NF1). Uporablja se, kadar tumorji povzročajo simptome (kot so bolečine in oslabelost) in jih ni mogoče odstraniti s kirurškim posegom.

Neurofibromatoza je redka bolezen, zato je bilo zdravilo Ezmekly 25. julija 2019 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni). Nadaljnje informacije o zdravilih sirotah so na voljo na [spletni strani](#) agencije EMA.

Zdravilo Ezmekly vsebuje učinkovino mirdametinib.

Kako se zdravilo Ezmekly uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila Ezmekly je le na recept, zdravljenje z njim pa mora uvesti zdravnik, ki ima izkušnje z diagnosticiranjem in zdravljenjem bolnikov s tumorji, ki jih povzroča neurofibromatoza tipa 1.

Na voljo je v obliki kapsul, ki se pogoltnejo ali disperzibilnih tablet, ki se raztopijo v vodi. Jemlje se dvakrat na dan v razmaku 12 ur. Bolniki zdravilo jemljejo tri tedne, nato jemanje prekinijo za en teden. Ta cikel se ponavlja, dokler se bolezen ne poslabša ali neželeni učinki postanejo nesprejemljivi.

Za več informacij glede uporabe zdravila Ezmekly glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Kako zdravilo Ezmekly deluje?

Učinkovina v zdravilu Ezmekly, mirdametinib, je majhna molekula, ki deluje tako, da zavira beljakovino, imenovano MEK, ki pomaga nadzorovati rast in preživetje celic. Pri ljudeh z neurofibromatozo tipa 1 je beljakovina MEK čezmerno aktivna, kar povzroča rast pleksiformnih neurofibromov na živčnih celicah. Mirdametinib z zaviranjem beljakovine MEK pomaga skrčiti te tumorje.

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



Kakšne koristi zdravila Ezmekly so se pokazale v študijah?

V glavno študijo je bilo vključenih 114 bolnikov, starejših od dveh let, s pleksiformnimi neurofibromi, ki jih povzroča NF1, pri katerih tumorjev ni bilo mogoče odstraniti s kirurškim posegom in so povzročili simptome. V tej študiji zdravila Ezmekly niso primerjali z nobenim drugim zdravilom ali placebom (zdravilom brez učinkovine).

Glavno merilo učinkovitosti je bil delež bolnikov, ki so se odzvali na zdravljenje z zdravilom Ezmekly. Za bolnike se je štelo, da so se odzvali, kadar ni bilo znakov tumorjev (popoln odziv) ali če se je velikost tumorjev zmanjšala za vsaj 20 % (delni odziv), odziv pa se je ohranil vsaj dva do šest mesecev.

Pri otrocih je do delnega odziva prišlo pri 52 % (29 od 56) otrok. Od tega se je odziv ohranil pri 90 % vsaj 12 mesecev, pri 48 % pa vsaj 24 mesecev.

Pri odraslih je do delnega odziva prišlo pri 41 % (24 od 58) bolnikov. Od tega se je odziv ohranil pri 88 % vsaj 12 mesecev, pri 50 % pa vsaj 24 mesecev.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Ezmekly?

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Ezmekly glejte navodilo za uporabo.

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Ezmekly (ki se lahko pojavijo pri več kot 1 od 3 bolnikov) so akneiformni dermatitis (vnetje kože, ki je podobno aknam), driska, navzea (siljenje na bruhanje), zvišane ravni encima kreatin-fosfokinaze v krvi, mišično-skeletne bolečine (bolečine v mišicah in kosteh), bruhanje in utrujenost. Neželeni učinki zdravila Ezmekly so lahko resni. Najpogostejši neželeni učinki (ki se lahko pojavijo pri največ 1 od 10 bolnikov) so bolečine v trebuhu, mišično-skeletne bolečine in okluzija mrežnične vene (zapora pretoka krvi v mrežnično veno, na svetlobo občutljiva membrana v zadnjem delu očesa).

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Ezmekly (ki se lahko pojavijo pri več kot 1 od 3 bolnikov) so zvišane ravni kreatin-fosfokinaze v krvi, driska, akneiformni dermatitis, mišično-skeletne bolečine, bolečine v trebuhu, bruhanje in glavobol. Resni neželeni učinki (ki se lahko pojavijo pri največ 1 od 10 bolnikov) vključujejo mišično-skeletne bolečine.

Zakaj je bilo zdravilo Ezmekly odobreno v EU?

V času odobritve je bilo v EU odobreno le eno zdravilo za zdravljenje pleksiformnih neurofibromov pri otrocih, starejših od treh let, z neurofibromatozo tipa 1. Zdravilo Ezmekly zagotavlja dodatno možnost zdravljenja in se je izkazalo za učinkovito pri še mlajših otrocih, od dveh let, in pri odraslih. Vendar je obseg njegovih koristi negotov, saj ga niso primerjali z nobenim drugim zdravilom ali placebom, bolnike pa so spremljali manj kot tri leta.

Z vidika varnosti je bila večina neželenih učinkov, opaženih pri zdravlilu Ezmekly, blagih do zmernih. Vendar pa lahko nekateri redki, vendar resni neželeni učinki vplivajo na oči in srce. Obstaja negotovost glede tega, ali bi zdravilo lahko poškodovalo DNK in potencialno prispevalo k razvoju raka. To je obravnavano z ustreznim opozorilom v informacijah o zdravilu. Obstaja tudi negotovosti glede dolgoročne varnosti zdravila Ezmekly.

Zdravilo Ezmekly je pridobilo pogojno dovoljenje za promet. To pomeni, da je bilo odobreno na podlagi manj izčrpnih podatkov, kot je običajno potrebno, ker izpolnjuje neizpolnjeno zdravstveno potrebo. Agencija meni, da koristi zgodnejše razpoložljivosti zdravila odtehtajo vsa tveganja, povezana z njegovo uporabo, medtem ko se pričakujejo dodatni dokazi.

Poleg tega mora podjetje predložiti dodatne podatke o zdravilu Ezmekly. Predložiti mora dolgoročne rezultate glavne študije o varnosti in učinkovitosti zdravila ter rezultate študije o oceni varnosti zdravila, kadar se uporablja v klinični praksi. Agencija bo vsako leto ponovno pregledala vse nove podatke, ki bodo na voljo.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Ezmekly?

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Ezmekly upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Ezmekly stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Ezmekly, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Ezmekly

Nadaljnje informacije za zdravilo Ezmekly so na voljo na spletni strani agencije:

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

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 07-2025.