



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ezmekly (*mirdametinib*)

Sammanfattning av Ezmekly och varför det är godkänt inom EU

Vad är Ezmekly och vad används det för?

Ezmekly är ett läkemedel som används för att behandla plexiforma neurofibrom, godartade (icke-cancerogena) tumörer som växer längs nerver hos vuxna och barn i åldern två år och äldre med neurofibromatos typ 1 (NF1). Det används när tumörerna orsakar symptom (t.ex. smärta och svaghet) och inte kan avlägsnas genom operation.

Neurofibromatos är sällsynt och Ezmekly klassificerades som sär läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 25 juli 2019. Mer information om klassificeringen som sär läkemedel finns på på EMA:s [webbplats](#).

Ezmekly innehåller den aktiva substansen mirdametinib.

Hur används Ezmekly?

Ezmekly är receptbelagt och behandling ska inledas av en läkare med erfarenhet av att diagnostisera och behandla patienter med tumörer som orsakas av NF1.

Ezmekly finns som kapslar som ska sväljas eller dispergerbara tabletter som kan lösas upp i vatten. Det tas två gånger om dagen med 12 timmars mellanrum. Patienterna tar läkemedlet i tre veckor och gör sedan uppehåll i en vecka. Denna cykel upprepas tills sjukdomen förvärras eller biverkningarna blir oacceptabla.

För mer information om hur du använder Ezmekly, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

Hur verkar Ezmekly?

Den aktiva substansen i Ezmekly, mirdametinib, är en liten molekyl som verkar genom att blockera MEK, ett protein som hjälper till att kontrollera hur cellerna växer och överlever. Hos personer med NF1 är MEK överaktivt, vilket leder till tillväxt av plexiforma neurofibrom på nervcellerna. Genom att blockera MEK bidrar mirdametinib till att minska dessa tumörer.

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



Vilka fördelar med Ezmekly har visats i studierna?

En huvudstudie omfattade 114 patienter i åldern två år och äldre med plexiforma neurofibrom orsakade av NF1 vars tumörer inte kunde avlägsnas genom kirurgi och orsakade symtom. I denna studie jämfördes Ezmekly inte med någon annan behandling eller placebo (overksam behandling).

Huvudeffektmåttet var andelen patienter som svarade på behandlingen med Ezmekly. Patienterna ansågs ha svarat när det inte fanns några tecken på tumörer (fullständigt svar) eller om tumörerna minskade med minst 20 procent i storlek (partiellt svar) och svaret bibehölls i minst 2–6 månader.

Hos barn uppvisade 52 procent (29 av 56) ett partiellt svar. Bland dessa kvarstod svaret hos 90 procent i minst 12 månader och hos 48 procent i minst 24 månader.

Hos vuxna uppvisade 41 procent (24 av 58) ett partiellt svar. Bland dessa kvarstod svaret hos 88 procent i minst 12 månader och hos 50 procent i minst 24 månader.

Vilka är riskerna med Ezmekly?

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Ezmekly finns i bipacksedeln.

Hos vuxna är de vanligaste biverkningarna som orsakas av Ezmekly (kan förekomma hos fler än 1 av 3 användare) akneiform dermatit (akneliknande inflammation i huden), diarré, illamående, förhöjda nivåer av enzymet kreatinfosfokinas i blodet, muskel- och skelettsmärta, kräkningar och trötthet. Biverkningar som orsakas av Ezmekly kan vara allvarliga. De vanligaste (kan förekomma hos upp till 1 av 10 användare) är buksmärta, muskel- och skelettsmärta och retinal venocklusion (blockering av blodflödet i en ven i näthinnan, det ljuskänsliga membranet i ögats bakre del).

Hos barn är de vanligaste biverkningarna som orsakas av Ezmekly (kan förekomma hos fler än 1 av 3 användare) förhöjda nivåer av kreatinfosfokinas i blodet, diarré, akneliknande dermatit, muskel- och skelettsmärta, buksmärta, kräkningar och huvudvärk. Allvarliga biverkningar (kan förekomma hos upp till 1 av 10 användare) är muskel- och skelettsmärta.

Varför är Ezmekly godkänt i EU?

Vid tidpunkten för godkännandet var endast ett läkemedel godkänt i EU för plexiforma neurofibrom hos barn i åldern tre år och äldre med NF1. Ezmekly utgör ytterligare ett behandlingsalternativ och har visat sig vara effektivt hos barn från en något yngre ålder – två år – och hos vuxna. Omfattningen av dess fördelar är dock osäker eftersom läkemedlet inte har jämförts med någon annan behandling eller placebo och patienterna har följts upp i mindre än tre år.

När det gäller säkerheten var de flesta biverkningar som sågs med Ezmekly lindriga till måttliga. Vissa sällsynta men allvarliga biverkningar kan dock påverka ögonen och hjärtat. Det råder osäkerhet om huruvida läkemedlet kan skada DNA och potentiellt bidra till utvecklingen av cancer. Detta hanteras genom en lämplig varning i produktinformationen. Det finns också osäkerhetsfaktorer när det gäller Ezmeklys långsiktiga säkerhet.

Ezmekly har godkänts enligt reglerna om "villkorat godkännande". Detta innebär att det har beviljats på grundval av mindre omfattande data än vad som normalt krävs, eftersom det tillgodoser ett ouppfyllt medicinskt behov. EMA anser att fördelarna med att ha läkemedlet tillgängligt tidigare uppväger riskerna vid användning av det i väntan på ytterligare belägg.

Dessutom måste företaget lämna ytterligare uppgifter om Ezmekly. Företaget måste lämna in långsiktiga resultat från huvudstudien om läkemedlets säkerhet och effekt samt resultat från en studie

där dess säkerhet bedöms när det används i klinisk praxis. EMA kommer att granska ny information om produkten varje år.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Ezmekly?

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Ezmekly har tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Ezmekly kontinuerligt. Misstänkta biverkningar som har rapporterats för Ezmekly utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

Mer information om Ezmekly

Mer information om Ezmekly finns på EMA:s webbplats:

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

Denna sammanfattning uppdaterades senast 07-2025.