



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/1545/2025
EMA/H/C/005220

Emcitate (*tiratricol*)

Общ преглед на Emcitate и основания за разрешаване в ЕС

Какво представлява Emcitate и за какво се използва?

Emcitate е лекарство, което се използва за лечение на периферна тиреотоксикоза (прекомерно високи нива на определени щитовидни хормони в кръвта) при хора с дефицит на монокарбоксилат транспортер 8 (MCT8). Дефицитът на MCT8 е известен също като синдром на Allan-Herndon-Dudley — заболяване, засягащо развитието на мозъка.

Emcitate съдържа активното вещество тиратрикол (*tiratricol*) и е хибридно лекарство. Това означава, че е подобно на „референтно лекарство“, съдържащо същото активно вещество, но между двете има някои разлики. Emcitate се предлага под формата на диспергиращи се таблетки (които се смесват с вода преди приемане), докато референтното лекарство се предлага под формата на таблетки, които се приемат през устата. Референтното лекарство за Emcitate е Téatrois, което се предлага на пазара във Франция за лечение на синдром на резистентност към щитовидния хормон.

Дефицитът на MCT8 се счита за рядко заболяване и Emcitate е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) на 8 ноември 2017 г. Допълнителна информация за лекарствата сираци можете да намерите на [уебсайта](#) на ЕМА.

Как се използва Emcitate?

Emcitate се отпуска по лекарско предписание и лечението трябва да бъде започнато и наблюдавано от лекар с опит в лечението на пациенти с редки генетични нарушения.

Лекарството се предлага под формата на диспергиращи се таблетки, които се приемат от 1 до 3 пъти дневно. Таблетките се диспергират (смесват) с малко количество вода и след това се прилагат чрез спринцовка през устата или през хранителна сонда. Началната доза зависи от телесното тегло на пациента. Дозата се увеличава постепенно на всеки две седмици, докато нивата на щитовидния хормон трийодтиронин (Т3) в кръвта не се намалят в достатъчна степен.

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



За повече информация относно употребата на Emcitate вижте листовката или се свържете с вашия лекар или фармацевт.

Как действа Emcitate?

Тиротоксикозата при дефицит на МСТ8 се причинява от мутация (промяна) в гена, който дава „инструкции“ за производство на протеин, наречен МСТ8. Този протеин обикновено пренася щитовидния хормон Т3 в клетки на различни тъкани и органи, включително тези на мозъка. Поради генната мутация МСТ8 не функционира правилно и поради това Т3 не може да навлезе в мозъчните клетки, а това причинява проблеми с развитието на мозъка и мускулите. Това води и до натрупване на Т3 в други части на тялото, което причинява проблеми, дължащи се на прекомерните количества щитовиден хормон (хипертиреозидизъм). Активното вещество в Emcitate, тиратрикол, е много подобно на Т3, но не се нуждае от МСТ8, за да навлиза и излиза от клетките. Поради това се очаква лекарството да навлезе в клетките на организма при пациенти с дефицит на МСТ8 и да замени липсващия хормон Т3. Това помага да се възстанови нормалната активност на щитовидния хормон в организма и да се намалят симптомите на периферната тиреотоксикоза.

Какви ползи от Emcitate са установени в проучванията?

В едно основно проучване, обхващащо 46 деца и възрастни с дефицит на МСТ8, причиняващ симптоми на заболяването, е установено, че лечението с Emcitate намалява средното ниво на Т3 в кръвта от 4,97 nmol/l на 1,82 nmol/l след 12 месеца на лечение. Подкрепящите данни показват също малки подобрения в симптомите на тиреотоксикоза, например повишена сърдечна честота, високо кръвно налягане и преждевременни предсърдни контракции (допълнителни сърдечни удари). В проучването Emcitate не е сравнен с друго лекарство или с плацебо (сляпо лечение).

Какви са рисковете, свързани с Emcitate?

За пълния списък на нежеланите реакции и ограниченията при Emcitate вижте листовката.

Най-честите нежелани реакции при Emcitate (които може да засегнат не повече от 1 на 10 души) включват хиперхидроза (прекомерно потене), диария, раздразнителност, тревожност и кошмари. Тези нежелани реакции обикновено се появяват в началото на лечението или при увеличаване на дозата и обикновено се подобряват в рамките на няколко дни.

Emcitate не трябва да се използва за лечение на други причини за хипертиреозидизъм. Също така не трябва да се приема по време на бременност.

Защо Emcitate е разрешен за употреба в ЕС?

Към момента на одобрението няма разрешено лечение в ЕС за периферна тиреотоксикоза, причинена от дефицит на МСТ8, която е много рядко и сериозно заболяване. В проучване, обхващащо пациенти с дефицит на МСТ8, е показано, че Emcitate намалява средните нива на щитовидния хормон Т3 и води до малки подобрения на симптомите на периферна тиреотоксикоза. Безопасността на Emcitate е сравнима с тази на референтното лекарство и се счита за приемлива при подходящо дозиране и наблюдение.

Затова становището на Агенцията е, че ползите от употребата на Emcitate са по-големи от рисковете и този продукт може да бъде разрешен за употреба в ЕС.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Emcitate?

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Emcitate, които следва да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Както при всички лекарства, данните във връзка с употребата на Emcitate непрекъснато се проследяват. Съобщените нежелани реакции, свързани с употребата на Emcitate, внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

Допълнителна информация за Emcitate:

Допълнителна информация за Emcitate можете да намерите на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/emcitate.

Дата на последно актуализиране на текста 01-2025.