



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Emcitate (*tiratrikol*)

Přehled pro přípravek Emcitate a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Emcitate a k čemu se používá?

Emcitate je léčivý přípravek, který se používá k léčbě periferní tyreotoxikózy (nadměrné hladiny určitých hormonů štítné žlázy v krvi) u osob s deficitem (nedostatkem) monokarboxylátového transportéru 8 (MCT8). Deficit MCT8 je známý také jako Allanův-Herndonův-Dudleyův syndrom, což je onemocnění, které má vliv na vývoj mozku.

Přípravek Emcitate obsahuje léčivou látku tiratrikol a je to hybridní léčivý přípravek. Znamená to, že je podobný „referenčnímu léčivému přípravku“, obsahuje stejnou léčivou látku, avšak existují mezi nimi určité rozdíly. Přípravek Emcitate je k dispozici ve formě dispergovatelných tablet (tablet, které se před užitím smíchají s vodou), zatímco referenční léčivý přípravek byl k dispozici ve formě tablet k užití ústy. Referenčním léčivým přípravkem přípravku Emcitate je přípravek Téatrois, který byl dodáván na trh ve Francii k léčbě syndromu rezistence na hormony štítné žlázy.

Deficit MCT8 je vzácné onemocnění a přípravek Emcitate byl označen dne 8. listopadu 2017 jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete na [internetových stránkách](#) agentury EMA.

Jak se přípravek Emcitate používá?

Výdej přípravku Emcitate je vázán na lékařský předpis. Léčba by měla být zahájena a sledována lékařem, který má zkušenosti s léčbou pacientů se vzácnými genetickými poruchami.

Přípravek je k dispozici ve formě dispergovatelných tablet, které se užívají jednou až třikrát denně. Tablety je třeba rozpustit v malém množství vody (smíchat s vodou) a poté podat stříkačkou do úst nebo výživovou sondou. Zahajovací dávka závisí na tělesné hmotnosti pacienta. Dávka se postupně zvyšuje každé dva týdny, dokud není hladina trijodtyroninu (T3), hormonu štítné žlázy, v krvi dostatečně snížena.

Více informací o používání přípravku Emcitate naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

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



Jak přípravek Emcitate působí?

Tyreotoxikóza při deficitu MCT8 je způsobena mutací (změnou) genu, který instruuje k tvorbě bílkoviny zvané MCT8. Tato bílkovina za normálních okolností přenáší hormon štítné žlázy T3 do buněk různých tkání a orgánů, včetně do mozkových buněk. V důsledku genové mutace MCT8 nefunguje správně, a proto T3 nemůže vstupovat do mozkových buněk, což způsobuje problémy s vývojem mozku a svalů. To vede rovněž k hromadění T3 v dalších částech těla, což vyvolává problémy v důsledku nadměrného množství hormonu štítné žlázy (hypertyreózy). Léčivá látka v přípravku Emcitate, tiratrikol, je velmi podobná hormonu T3, ale k tomu, aby vstupovala do buněk v těle a zase z nich odcházela, nepotřebuje MCT8. Proto se očekává, že u pacientů s deficitem MCT8 přípravek vstoupí do buněk těla a nahradí chybějící hormon T3. To pomůže obnovit normální aktivitu hormonů štítné žlázy v těle a zmírnit příznaky periferní tyreotoxikózy.

Jaké přínosy přípravku Emcitate byly prokázány v průběhu studií?

V hlavní studii, do které bylo zařazeno 46 dětí a dospělých s deficitem MCT8 vyvolávajícím příznaky onemocnění, bylo zjištěno, že po 12 měsících léčby přípravkem Emcitate došlo ke snížení průměrné hladiny hormonu T3 v krvi ze 4,97 nmol/l na 1,82 nmol/l. Z podpůrných údajů také vyplynulo, že došlo k mírnému zlepšení příznaků tyreotoxikózy, jako je zvýšení srdeční frekvence, vysoký krevní tlak a předčasné stahy síní (mimo srdeční rytmus). V této studii nebyl přípravek Emcitate porovnáván s žádným jiným léčivým přípravkem ani s placebem (neúčinným přípravkem).

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Emcitate?

Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení přípravku Emcitate je uveden v příbalové informaci.

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Emcitate (které mohou postihnout až 1 osobu z 10) jsou hyperhidróza (nadměrné pocení), průjem, podrážděnost, úzkost a noční můry. Tyto nežádoucí účinky se obvykle objevují na začátku léčby nebo při zvýšení dávky a během několika dnů většinou odezní.

Přípravek Emcitate se nesmí používat k léčbě jiných příčin hypertyreózy. Nesmí se užívat ani v průběhu těhotenství.

Na základě čeho byl přípravek Emcitate registrován v EU?

V době schválení přípravku neexistovala v EU žádná schválená léčba periferní tyreotoxikózy vyvolané deficitem MCT8, což je velmi vzácné a závažné onemocnění. Studie, do které byli zařazeni pacienti s deficitem MCT8, prokázala, že přípravek Emcitate snižuje průměrnou hladinu hormonu štítné žlázy T3 a vede k mírnému zlepšení příznaků periferní tyreotoxikózy. Bezpečnost přípravku Emcitate je srovnatelná s bezpečností referenčního léčivého přípravku a při vhodném dávkování a sledování se považuje za přijatelnou.

Stanovisko agentury proto bylo takové, že přínosy přípravku Emcitate převyšují jeho rizika, a může tak být registrován k použití v EU.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Emcitate?

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Emcitate, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Emcitate průběžně sledovány. Podezření na nežádoucí účinky nahlášená v souvislosti s přípravkem Emcitate jsou pečlivě hodnocena a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

Další informace o přípravku Emcitate

Další informace o přípravku Emcitate jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/emcitate.

Tento přehled byl naposledy aktualizován v 01-2025.