



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Emcitat (*tiratricol*)

En oversigt over Emcitat, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Emcitat, og hvad anvendes det til?

Emcitat er et lægemiddel, der anvendes til behandling af perifer thyrotoksikose (for højt indhold af visse thyroideahormoner i blodet) hos personer med monocarboxylattransporter 8 (MCT8)-mangel. MCT8-mangel kaldes også Allan-Hernon-Dudley-syndrom, en lidelse, der påvirker hjernens udvikling.

Emcitat indeholder det aktive stof tiratricol og er et "hybridlægemiddel". Det betyder, at det svarer til et "referencelægemiddel", som indeholder det samme aktive stof. Der er dog visse forskelle mellem de to: Emcitat fås som dispergible tabletter (blandes med vand, inden det tages), mens referencelægemidlet var tilgængeligt som tabletter, der skulle tages gennem munden. Referencelægemidlet for Emcitat er Téatrois, som blev markedsført i Frankrig til behandling af thyroideahormonresistenssyndrom.

MCT8-mangel er sjælden, og Emcitat blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 8. november 2017. Der findes mere information om lægemidler til sjældne sygdomme på EMA's [websted](#).

Hvordan anvendes Emcitat?

Emcitat fås kun på recept, og behandlingen bør indledes og overvåges af en læge, der har erfaring med behandling af patienter med sjældne genetiske sygdomme.

Lægemidlet fås som dispergible tabletter, der skal tages 1-3 gange dagligt. Tabletterne skal opløses (blandes) i en lille mængde vand og derefter gives med sprøjte i munden eller gennem sonde. Startdosen afhænger af patientens kropsvægt. Dosis øges gradvist hver anden uge, indtil blodets indhold af skjoldbruskkirtelhormonet triiodothyronin (T3) er tilstrækkeligt sænket.

Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Emcitat, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

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



Hvordan virker Emcitat?

Thyrotoksikose ved MCT8-mangel skyldes en mutation (ændring) i genet, som giver instrukser om dannelse af et protein kaldet MCT8. Dette protein transporterer normalt skjoldbruskkirtelhormonet T3 ind i celler i forskellige væv og organer, herunder hjernecellerne. På grund af genmutationen virker MCT8 ikke korrekt, og T3 kan derfor ikke trænge ind i hjernecellerne, hvilket medfører problemer med hjerne- og muskeludvikling. Det medfører også en ophobning af T3 i andre dele af kroppen, hvilket medfører problemer som følge af for meget skjoldbruskkirtelhormon (hyperthyreoidisme). Det aktive stof i Emcitat, tiratricol, ligner meget T3, men behøver ikke MCT8 for at bevæge sig ind og ud af cellerne. Lægemidlet forventes derfor at trænge ind i kroppens celler hos patienter med MCT8-mangel og erstatte det manglende T3-hormon. Dette bidrager til at genoprette en normal skjoldbruskkirtelhormonaktivitet i kroppen og reducerer symptomerne på perifer thyrotoksikose.

Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Emcitat?

Et hovedstudie, der omfattede 46 børn og voksne med MCT8-mangel, som medførte sygdomssymptomer, viste, at behandling med Emcitat reducerede det gennemsnitlige niveau af T3 i blodet fra 4,97 nmol/l til 1,82 nmol/l efter 12 måneders behandling. Støttedata viste også små forbedringer i tegn på thyrotoksikose såsom øget hjerterefrekvens, højt blodtryk og for tidlige sammentrækninger (ekstra hjerteslag). I studiet blev Emcitat ikke sammenlignet med et andet lægemiddel eller placebo (en uvirksom behandling).

Hvilke risici er der forbundet med Emcitat?

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Emcitat fremgår af indlægssedlen.

De mest almindelige bivirkninger ved Emcitat (som kan forekomme hos op til 1 ud af 10 personer) er hyperhidrose (øget svedtendens), diarré, irritabilitet, angst og mareridt. Disse bivirkninger opstår normalt ved begyndelsen af behandlingen, eller når dosen øges, og bliver normalt bedre inden for nogle få dage.

Emcitat må ikke anvendes til behandling af andre årsager til hyperthyreoidisme. Det må heller ikke anvendes under graviditet.

Hvorfor er Emcitat godkendt i EU?

På godkendelsestidspunktet var der ingen godkendt behandling i EU for perifer thyrotoksikose forårsaget af MCT8-mangel, som er en meget sjælden og alvorlig sygdom. Et studie med patienter med MCT8-mangel har vist, at Emcitat reducerer det gennemsnitlige niveau af skjoldbruskkirtelhormonet T3 og medfører små forbedringer i tegn på perifer thyrotoksikose. Emcitats sikkerhed er sammenlignelig med sikkerheden ved referencelægemidlet og anses for acceptabel ved passende dosering og overvågning.

Agenturet var derfor af den opfattelse, at fordelene ved Emcitat opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre, at Emcitat anvendes sikkert og effektivt?

Der er anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre, at Emcitat anvendes sikkert og effektivt.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende anvendelsen af Emcitat løbende overvåget. De formodede bivirkninger ved Emcitat vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Øvrig information om Emcitat

Yderligere information om Emcitat findes på agenturets websted:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/emcitate.

Denne oversigt blev sidst ajourført i 01-2025.