



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Emcitate (*Tiratricol*)

Übersicht über Emcitate und warum es in der EU zugelassen ist

Was ist Emcitate und wofür wird es angewendet?

Emcitate ist ein Arzneimittel zur Behandlung der peripheren Thyreotoxikose (erhöhte Spiegel bestimmter Schilddrüsenhormone im Blut) bei Personen mit einem Mangel an Monocarboxylat-Transporter 8 (MCT8). MCT8-Mangel wird auch als Allan-Hernon-Dudley-Syndrom bezeichnet; dabei handelt es sich um eine Erkrankung, die die Entwicklung des Gehirns beeinträchtigt.

Emcitate enthält den Wirkstoff Tiratricol und ist ein Hybridarzneimittel. Dies bedeutet, dass es einem „Referenzarzneimittel“ ähnlich ist, das den gleichen Wirkstoff enthält; es bestehen jedoch gewisse Unterschiede zwischen den beiden Arzneimitteln. Emcitate ist als lösliche Tabletten erhältlich (die vor der Einnahme mit Wasser vermischt werden), während das Referenzarzneimittel als Tabletten zum Einnehmen erhältlich war. Das Referenzarzneimittel für Emcitate ist Téatrois, das in Frankreich zur Behandlung des Schilddrüsenhormonresistenz-Syndroms in den Verkehr gebracht wurde.

MCT8-Mangel ist selten, und Emcitate wurde am 8. November 2017 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen. Weitere Informationen zur Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden finden Sie auf den [Internetseiten](#) der EMA.

Wie wird Emcitate angewendet?

Emcitate ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich, und die Behandlung sollte von einem Arzt eingeleitet und überwacht werden, der Erfahrung in der Behandlung von Patienten mit seltenen genetischen Erkrankungen hat.

Das Arzneimittel ist als lösliche Tabletten erhältlich, die 1 bis 3 Mal täglich eingenommen werden. Die Tabletten sollten in einer kleinen Menge Wasser aufgelöst (gemischt) und anschließend durch eine Spritze in den Mund oder über eine Ernährungssonde gegeben werden. Die Anfangsdosis hängt vom Körpergewicht des Patienten ab. Die Dosis wird schrittweise alle zwei Wochen erhöht, bis der Spiegel des Schilddrüsenhormons Triiodothyronin (T3) im Blut ausreichend gesenkt ist.

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



Weitere Informationen zur Anwendung von Emcitate entnehmen Sie der Packungsbeilage, oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Wie wirkt Emcitate?

Die Thyreotoxikose bei MCT8-Mangel wird durch eine Mutation (Änderung) des Gens verursacht, die Anweisungen für die Herstellung eines Proteins namens MCT8 enthält. Dieses Protein transportiert normalerweise das Schilddrüsenhormon T3 in Zellen verschiedener Gewebe und Organe, einschließlich der Gehirnzellen. Aufgrund der Genmutation funktioniert MCT8 nicht richtig, sodass T3 nicht in die Gehirnzellen gelangen kann, was Probleme bei der Entwicklung des Gehirns und der Muskeln verursacht. Es führt außerdem zu einer Ansammlung von T3 in anderen Körperteilen und verursacht Probleme durch eine zu hohe Menge des Schilddrüsenhormons (Hyperthyreose). Der Wirkstoff in Emcitate, Tiratricol, ist T3 sehr ähnlich, jedoch nicht auf MCT8 angewiesen, um sich in und aus den Zellen zu bewegen. Daher wird davon ausgegangen, dass das Arzneimittel bei Patienten mit MCT8-Mangel in die Körperzellen eindringt und das fehlende T3-Hormon ersetzt. Dies trägt dazu bei, die normale Aktivität der Schilddrüsenhormone im Körper wiederherzustellen und die Symptome der peripheren Thyreotoxikose zu verringern.

Welchen Nutzen hat Emcitate in den Studien gezeigt?

In einer Hauptstudie, an der 46 Kinder und Erwachsene mit MCT8-Mangel, der Krankheitssymptome verursachte, teilnahmen, wurde festgestellt, dass die Behandlung mit Emcitate den durchschnittlichen T3-Spiegel im Blut nach 12-monatiger Behandlung von 4,97 nmol/l auf 1,82 nmol/l senkte. Unterstützende Daten zeigten auch geringfügige Verbesserungen bei Anzeichen einer Thyreotoxikose, wie z. B. erhöhte Herzfrequenz, Bluthochdruck und vorzeitige Vorhofkontraktionen (zusätzliche Herzschläge). In der Studie wurde Emcitate nicht mit einem anderen Arzneimittel oder Placebo (einer Scheinbehandlung) verglichen.

Welche Risiken sind mit Emcitate verbunden?

Die vollständige Auflistung der Nebenwirkungen und Einschränkungen im Zusammenhang mit Emcitate ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Sehr häufige Nebenwirkungen von Emcitate (die bis zu 1 von 10 Behandelten betreffen können) sind Hyperhidrose (übermäßiges Schwitzen), Durchfall, Reizbarkeit, Angstzustände und Alpträume. Diese Nebenwirkungen treten in der Regel zu Beginn der Behandlung oder bei Erhöhung der Dosis auf und klingen in der Regel innerhalb weniger Tage ab.

Emcitate darf nicht zur Behandlung anderer Ursachen von Hyperthyreose angewendet werden. Zudem darf es nicht während der Schwangerschaft eingenommen werden.

Warum wurde Emcitate in der EU zugelassen?

Zum Zeitpunkt der Zulassung gab es in der EU keine zugelassene Behandlung für die durch MCT8-Mangel verursachte periphere Thyreotoxikose, bei der es sich um eine sehr seltene und schwere Erkrankung handelt. Eine Studie, an der Patienten mit MCT8-Mangel teilnahmen, hat gezeigt, dass Emcitate die durchschnittlichen Spiegel des Schilddrüsenhormons T3 senkt und zu einer geringfügigen Verbesserung der Anzeichen einer peripheren Thyreotoxikose führt. Die Sicherheit von Emcitate ist mit der des Referenzarzneimittels vergleichbar und wird bei angemessener Dosierung und Überwachung als annehmbar angesehen.

Die Agentur war daher der Ansicht, dass der Nutzen von Emcitate gegenüber den Risiken überwiegt und dass es in der EU zugelassen werden kann.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Emcitate ergriffen?

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Emcitate, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Wie bei allen Arzneimitteln werden Daten zur Anwendung von Emcitate kontinuierlich überwacht. Gemeldete Verdachtsfälle von Nebenwirkungen von Emcitate werden sorgfältig ausgewertet und alle notwendigen Maßnahmen zum Schutz der Patienten ergriffen.

Weitere Informationen über Emcitate

Weitere Informationen zu Emcitate finden Sie auf den Internetseiten der Agentur:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/emcitate.

Diese Übersicht wurde zuletzt im 01-2025 aktualisiert.