



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Emcitate (τιρατρικόλη)

Ανασκόπηση του Emcitate και αιτιολογικό έγκρισης στην ΕΕ

Τι είναι το Emcitate και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Emcitate είναι φάρμακο που χρησιμοποιείται για τη θεραπεία της περιφερικής θυρεοτοξικότητας (αυξημένα επίπεδα ορισμένων θυρεοειδικών ορμονών στο αίμα) σε ασθενείς με ανεπάρκεια μονοκαρβοξυλικού μεταφορέα 8 (MCT8). Η ανεπάρκεια MCT8 είναι επίσης γνωστή ως σύνδρομο Allan-Herndon-Dudley, μια διαταραχή που επηρεάζει την ανάπτυξη του εγκεφάλου.

Το Emcitate περιέχει τη δραστική ουσία τιρατρικόλη και είναι «υβριδικό φάρμακο». Αυτό σημαίνει ότι είναι παρόμοιο με το «φάρμακο αναφοράς», το οποίο περιέχει την ίδια δραστική ουσία αλλά υπάρχουν ορισμένες διαφορές μεταξύ των δύο. Το Emcitate διατίθεται υπό μορφή διασπειρόμενων δισκίων (τα οποία αναμειγνύονται με νερό πριν από τη λήψη τους), ενώ το φάρμακο αναφοράς διατίθεται υπό μορφή δισκίων για χορήγηση από το στόμα. Το φάρμακο αναφοράς για το Emcitate είναι το Téoatrois, το οποίο κυκλοφόρησε στη Γαλλία για τη θεραπεία του συνδρόμου αντίστασης στις θυρεοειδικές ορμόνες.

Η ανεπάρκεια MCT8 είναι «σπάνια» και το Emcitate χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες παθήσεις) στις 8 Νοεμβρίου 2017. Περισσότερες πληροφορίες για τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού μπορείτε να βρείτε [στον δικτυακό τόπο](#) του EMA.

Πώς χρησιμοποιείται το Emcitate;

Το Emcitate χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή. Η έναρξη και η επίβλεψη της θεραπείας πρέπει να πραγματοποιούνται από γιατρό με πείρα στη διαχείριση ασθενών με σπάνιες γενετικές διαταραχές.

Το φάρμακο διατίθεται υπό μορφή διασπειρόμενων δισκίων τα οποία πρέπει να λαμβάνονται 1 έως 3 φορές την ημέρα. Τα δισκία πρέπει να διασπείρονται (αναμειγνύονται) σε μικρή ποσότητα νερού και στη συνέχεια να χορηγούνται με σύριγγα στο στόμα ή μέσω καθετήρα σίτισης. Η αρχική δόση εξαρτάται από το σωματικό βάρος του ασθενούς. Η δόση αυξάνεται σταδιακά κάθε δύο εβδομάδες μέχρι να μειωθούν επαρκώς τα επίπεδα της τριιωδοθυρονίνης στο αίμα (T3), μιας θυρεοειδικής ορμόνης.

Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Emcitate, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

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



Πώς δρα το Emcitate;

Η θυρεοτοξικότητα σε ασθενείς με ανεπάρκεια MCT8 προκαλείται από μια μετάλλαξη (αλλαγή) στο γονίδιο που παρέχει οδηγίες για τη δημιουργία μιας πρωτεΐνης που ονομάζεται MCT8. Η πρωτεΐνη αυτή μεταφέρει συνήθως τη θυρεοειδική ορμόνη T3 στα κύτταρα διαφόρων ιστών και οργάνων, συμπεριλαμβανομένων των κυττάρων του εγκεφάλου. Λόγω της γονιδιακής μετάλλαξης, η MCT8 δεν λειτουργεί σωστά και, ως εκ τούτου, η T3 δεν μπορεί να εισέλθει στα κύτταρα του εγκεφάλου, προκαλώντας προβλήματα στην ανάπτυξη του εγκεφάλου και των μυών. Επίσης, οδηγεί στη συσσώρευση της T3 σε άλλα μέρη του σώματος, γεγονός που προκαλεί προβλήματα λόγω της υπερβολικής ποσότητας θυρεοειδικών ορμονών (υπερθυρεοειδισμός). Η δραστική ουσία του Emcitate, η τιρατρικόλη, είναι πολύ παρόμοια με την T3, αλλά δεν χρειάζεται την MCT8 για να μετακινηθεί εντός και εκτός των κυττάρων. Ως εκ τούτου, το φάρμακο αναμένεται να εισέλθει στα κύτταρα του οργανισμού σε ασθενείς με ανεπάρκεια MCT8 και να αντικαταστήσει την ελλείπουσα ορμόνη T3. Αυτό συμβάλλει στην αποκατάσταση της φυσιολογικής λειτουργίας των θυρεοειδικών ορμονών στον οργανισμό και στη μείωση των συμπτωμάτων της περιφερικής θυρεοτοξικότητας.

Ποια είναι τα οφέλη του Emcitate σύμφωνα με τις μελέτες;

Σε μια κύρια μελέτη, στην οποία μετείχαν 46 παιδιά και ενήλικες με ανεπάρκεια MCT8 που προκαλεί συμπτώματα της νόσου, διαπιστώθηκε ότι η θεραπεία με Emcitate μείωσε το μέσο επίπεδο T3 στο αίμα από 4,97 nmol/l σε 1,82 nmol/l μετά από 12 μήνες θεραπείας. Τα υποστηρικτικά δεδομένα κατέδειξαν επίσης μικρή βελτίωση στις ενδείξεις θυρεοτοξικότητας, όπως αυξημένος καρδιακός ρυθμός, υψηλή αρτηριακή πίεση και πρόωρες κολπικές συσπάσεις (επιπλέον καρδιακοί παλμοί). Στη μελέτη αυτή, το Emcitate δεν συγκρίθηκε με άλλο φάρμακο ή εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία).

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Emcitate;

Για τον πλήρη κατάλογο των ανεπιθύμητων ενεργειών και των περιορισμών που έχουν αναφερθεί με το Emcitate, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης.

Οι πιο συχνές ανεπιθύμητες ενέργειες με Emcitate (ενδέχεται να εμφανιστούν σε έως και 1 στους 10 ασθενείς) περιλαμβάνουν υπεριδρωσία (υπερβολική εφίδρωση), διάρροια, ευερεθιστότητα, άγχος και εφιάλτες. Αυτές οι ανεπιθύμητες ενέργειες εμφανίζονται συνήθως κατά την έναρξη της θεραπείας ή κατά την αύξηση της δόσης και τείνουν να βελτιώνονται εντός ολίγων ημερών.

Το Emcitate δεν πρέπει να χορηγείται για τη θεραπεία άλλων αιτιών υπερθυρεοειδισμού. Επίσης, δεν πρέπει να λαμβάνεται κατά τη διάρκεια κύησης.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Emcitate στην ΕΕ;

Κατά τη στιγμή της έγκρισης, δεν υπήρχε εγκεκριμένη θεραπεία στην ΕΕ για την περιφερική θυρεοτοξικότητα που προκαλείται από ανεπάρκεια MCT8, μια πολύ σπάνια και σοβαρή πάθηση. Μια μελέτη στην οποία μετείχαν ασθενείς με ανεπάρκεια MCT8 κατέδειξε ότι το Emcitate μειώνει τα μέσα επίπεδα της θυρεοειδικής ορμόνης T3 και επιφέρει μικρές βελτιώσεις στα συμπτώματα της περιφερικής θυρεοτοξικότητας. Η ασφάλεια του Emcitate είναι συγκρίσιμη με την ασφάλεια του φαρμάκου αναφοράς και θεωρείται αποδεκτή με την κατάλληλη δοσολογία και παρακολούθηση.

Ως εκ τούτου, ο Οργανισμός έκρινε ότι τα οφέλη του Emcitate υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την έγκριση της χρήσης του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Emcitate;

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Emcitate.

Όπως για όλα τα φάρμακα, τα δεδομένα για τη χρήση του Emcitate τελούν υπό συνεχή παρακολούθηση. Οι πιθανολογούμενες ανεπιθύμητες ενέργειες που αναφέρονται για το Emcitate θα αξιολογούνται προσεκτικά και θα λαμβάνονται όλα τα απαραίτητα μέτρα για την προστασία των ασθενών.

Λοιπές πληροφορίες για το Emcitate

Περισσότερες πληροφορίες για το Emcitate διατίθενται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/emcitate.

Τελευταία ενημέρωση της ανασκόπησης: 01-2025.