



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Emcitate (*tiratricol*)

Información general sobre Emcitate y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

¿Qué es Emcitate y para qué se utiliza?

Emcitate es un medicamento que se utiliza para tratar la tirotoxicosis periférica (exceso de niveles en sangre de determinadas hormonas tiroideas) en pacientes con deficiencia del transportador 8 de monocarboxilato (MCT8). La deficiencia de MCT8 también se conoce como síndrome de Allan-Herndon-Dudley, un trastorno que afecta al desarrollo cerebral.

Emcitate contiene el principio activo tiratricol y es un medicamento híbrido, es decir, similar a un «medicamento de referencia» que contiene el mismo principio activo, pero hay algunas diferencias entre los dos. Emcitate se presenta en forma de comprimidos dispersables (que deben mezclarse con agua antes de tomarlos), mientras que el medicamento de referencia se presentó en forma de comprimidos para tomar por vía oral. El medicamento de referencia de Emcitate es Téatrois, que se comercializó en Francia para el tratamiento del síndrome de resistencia a la hormona tiroidea.

La deficiencia de MCT8 es una enfermedad rara, y Emcitate fue designado «medicamento huérfano» (un medicamento utilizado para tratar enfermedades raras) el 8 de noviembre de 2017. Puede encontrar más información sobre la designación de medicamento huérfano en la [página web](#) de la EMA.

¿Cómo se usa Emcitate?

Emcitate solo se podrá dispensar con receta médica y el tratamiento lo debe iniciar y supervisar un médico con experiencia en el tratamiento de pacientes con trastornos genéticos raros.

El medicamento se presenta en comprimidos dispersables que deben tomarse de 1 a 3 veces al día. Los comprimidos deben dispersarse (mezclarse) en una pequeña cantidad de agua y, a continuación, administrarse mediante jeringa en la boca o a través de un tubo de alimentación. La dosis inicial depende del peso corporal del paciente. La dosis se aumenta gradualmente cada dos semanas hasta que disminuyan suficientemente los niveles sanguíneos de la hormona tiroidea triyodotironina (T3).

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



Si desea más información sobre el uso de Emcitate, lea el prospecto o consulte a su médico o farmacéutico.

¿Cómo actúa Emcitate?

La tirotoxicosis en la deficiencia de MCT8 está causada por una mutación (cambio) en el gen que proporciona instrucciones para fabricar una proteína llamada MCT8. Esta proteína normalmente transporta la hormona tiroidea T3 a las células de diversos tejidos y órganos, incluidos los del cerebro. Debido a la mutación genética, la MCT8 no funciona correctamente, por lo que la T3 no puede entrar en las células cerebrales, lo que provoca problemas con el desarrollo cerebral y muscular. También provoca una acumulación de T3 en otras partes del organismo, lo que provoca problemas debidos al exceso de hormona tiroidea (hipertiroidismo). El principio activo de Emcitate, el tiratricol, es muy similar al T3, pero no necesita la MCT8 para entrar y salir de las células. Por tanto, se espera que el medicamento penetre en las células del organismo en pacientes con deficiencia de MCT8 y sustituya a la hormona T3 que falta, lo que ayuda a restaurar la actividad normal de la hormona tiroidea en el organismo y a reducir los síntomas de la tirotoxicosis periférica.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Emcitate en los estudios realizados?

En un estudio principal en el que participaron 46 niños y adultos con una deficiencia de MCT8 que provoca síntomas de la enfermedad se observó que el tratamiento con Emcitate reducía el nivel medio en sangre de T3 de 4,97 nmol/l a 1,82 nmol/l después de 12 meses de tratamiento. Los datos de apoyo también mostraron pequeñas mejoras en los signos de tirotoxicosis, como el aumento de la frecuencia cardíaca, la presión arterial elevada y las extrasístoles auriculares (latidos cardíacos adicionales). En el estudio, Emcitate no se comparó con otro medicamento ni con un placebo (un tratamiento ficticio).

¿Cuáles son los riesgos asociados a Emcitate?

La lista completa de efectos adversos y restricciones de Emcitate se puede consultar en el prospecto.

Los efectos adversos más frecuentes de Emcitate (pueden afectar hasta a 1 de cada 10 pacientes) son hiperhidrosis (sudoración excesiva), diarrea, irritabilidad, ansiedad y pesadillas. Estos efectos adversos suelen aparecer al inicio del tratamiento o cuando se aumenta la dosis, y tienden a mejorar al cabo de unos días.

Emcitate no debe utilizarse para tratar otras causas del hipertiroidismo. Tampoco debe tomarse durante el embarazo.

¿Por qué se ha autorizado Emcitate en la UE?

En el momento de la aprobación, no había ningún tratamiento autorizado en la UE para la tirotoxicosis periférica causada por la deficiencia de MCT8, que es una enfermedad muy rara y grave. Un estudio en el que participaron pacientes con deficiencia de MCT8 ha demostrado que Emcitate reduce los niveles medios de la hormona tiroidea T3 y produce pequeñas mejoras en los signos de tirotoxicosis periférica. La seguridad de Emcitate es comparable a la del medicamento de referencia y se considera aceptable con una dosificación y un seguimiento adecuados.

Por consiguiente, la Agencia consideró que los beneficios de Emcitate eran mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Emcitate?

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Emcitate se han incluido en la ficha técnica o resumen de las características del producto y en el prospecto

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Emcitate se controlan de forma continua. Los supuestos efectos adversos notificados de Emcitate se evalúan cuidadosamente, y se adoptan las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

Otra información sobre Emcitate

Puede encontrar más información sobre Emcitate en la página web de la Agencia:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/emcitate.

Fecha de la última actualización del presente resumen: 01-2025.