



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Emcitate (*tiratrikool*)

Ülevaade ravimist Emcitate ja ELis müügiloa väljastamise põhjendus

Mis on Emcitate ja milleks seda kasutatakse?

Emcitate on ravim, mida kasutatakse perifeerse türeotoksikoosi (teatud kilpnäärmehormoonide liigne sisaldus veres) raviks monokarboksülaadi transporter 8 (MCT8) vaegusega patsientidel. MCT8 vaegust nimetatakse ka Allan-Herndon-Dudley sündroomiks, mis on aju arengut mõjutav häire.

Emcitate sisaldab toimeainet tiratrikooli ja on hübriidravim. See tähendab, et see on sarnane võrdlusravimiga, mis sisaldab sama toimeainet, kuid nende kahe vahel on teatud erinevusi. Emcitatet turustatakse dispergeeruvate tablettidena (mis segatakse enne manustamist veega) ja võrdlusravimit turustatakse suukaudsete tablettidena. Emcitate võrdlusravim on Téatrois, mida turustati Prantsusmaal kilpnäärmehormoonide resistentsuse sündroomi raviks.

MCT8 vaegus esineb harva ja Emcitate nimetati 8. novembril 2017 harvikravimiks. Lisateave harvikravimiks nimetamise kohta on EMA [veebilehel](#).

Kuidas Emcitatet kasutatakse?

Emcitate on retseptiravim. Ravi peab alustama ja jälgima harvaesinevate geneetiliste häiretega patsientide ravis kogunud arst.

Ravimit turustatakse dispergeeruvate tablettidena, mida võetakse 1–3 korda ööpäevas. Tabletid tuleb lahustada (segada) väikeses koguses vees ja seejärel manustada süstla abil suhu või toitmissondi kaudu. Algannus sõltub patsiendi kehamassist. Annust suurendatakse järk-järgult iga kahe nädala järel, kuni kilpnäärmehormooni trijodotüroniini (T3) sisaldus veres on piisavalt vähenenud.

Lisateavet Emcitate kasutamise kohta saate pakendi infolehel või küsige oma arstilt või apteekrilt.

Kuidas Emcitate toimib?

MCT8 puudulikkuse korral esinevat türeotoksikoosi põhjustab geenimutatsioon (muutus), mis annab juhiseid valgu MCT8 tekitamiseks. See valk transpordib kilpnäärmehormooni T3 tavaliselt eri kudede ja

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



elundite, sealhulgas aju rakkudesse. Geenimutatsiooni tõttu ei toimi MCT8 nõuetekohaselt ja seega ei saa T3 siseneda ajurakkudesse, põhjustades probleeme aju ja lihaste arengus. Samuti põhjustab see T3 kogunemist organismi teistesse osadesse, põhjustades probleeme liiga suure kilpnäärmehormooni sisalduse (hüpertüreoidism) tõttu. Emcitate toimeaine tiratrikool on väga sarnane T3-ga, kuid rakkudesse ja rakkudest välja liikumiseks ei ole MCT8 vaja. Seetõttu eeldatakse, et ravim siseneb MCT8 vaegusega patsientidel organismi rakkudesse ja asendab puuduva T3 hormooni. See aitab taastada kilpnäärmehormooni normaalset aktiivsust organismis ja vähendada perifeerse türeotoksikoosi sümptomeid.

Mis on uuringute põhjal Emcitate kasulikkus?

Põhiuuringus, milles osales 46 haiguse sümptomeid põhjustava MCT8 vaegusega last ja täiskasvanut, leiti, et 12-kuuline Emcitate-ravi vähendas T3 keskmist sisaldust veres 4,97 nmol/l-lt 1,82 nmol/l-le. Toetavad andmed tõendasid ka türeotoksikoosi sümptomite, näiteks kiirenenud südametegevus, kõrge vererõhk ja enneaegsed kodade kokkutõmbed (liigsüdamelöögid), väikest paranemist. Uuringus ei võrreldud Emcitatet ühegi teise ravimi ega platseeboga (näiv ravim).

Mis on Emcitate riskid?

Emcitate kõrvalnähtude ja piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

Emcitate kõige sagedamad kõrvalnähud (võivad esineda kuni 1 patsiendil 10st) on näiteks hüperhidroos (liighigistamine), kõhulahtisus, ärrituvus, ärevus ja õudusunenäod. Need kõrvalnähud tekivad tavaliselt ravi alguses või annuse suurendamisel ja paranevad tavaliselt mõne päeva jooksul.

Emcitatet ei tohi kasutada hüpertüreooosi muude põhjuste raviks. Ravimit ei tohi kasutada raseduse ajal.

Miks Emcitate ELis heaks kiideti?

Müügiloo andmise ajal ei olnud ELis heaks kiidetud MCT8 vaeguse põhjustatud perifeerse türeotoksikoosi ravi, mis on väga haruldane ja raske seisund. Uuringus, milles osalesid MCT8 vaegusega patsiendid, tõendati, et Emcitate vähendab kilpnäärmehormooni T3 keskmist sisaldust ja põhjustab perifeerse türeotoksikoosi tunnuste väikest paranemist. Emcitate ohutus on võrreldav võrdlusravimi ohutusega ning seda peetakse sobiva annustamise ja jälgimise korral vastuvõetavaks.

Seega on amet arvamusel, et Emcitate kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid ja ravimi kasutamise võib ELis heaks kiita.

Mis meetmed võetakse, et tagada Emcitate ohutu ja efektiivne kasutamine?

Emcitate ohutu ja efektiivse kasutamise soovitusel ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite korral, tehakse Emcitate kasutamise kohta pidevat järelevalvet. Emcitate oletatavaid teatatud kõrvalnähte hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks võetakse vajalikke meetmeid.

Muu teave Emcitate kohta

Lisateave Emcitate kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/emcitate.

Kokkuvõtte viimane uuendus: 01-2025.