



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Emcitate (*tiratrikoli*)

Yleistiedot Emcitate-valmisteesta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Emcitate on ja mihin sitä käytetään?

Emcitate on lääke, jota käytetään perifeerisen tyreotoksikoosin (tiettyjen kilpirauhashormonien liiallinen määrä veressä) hoitoon potilailla, joilla on monokarboksylaatti-kuljettajaproteiini 8:n (MCT8) puutos. MCT8:n puutos tunnetaan myös nimellä Allan-Herndon-Dudleyn oireyhtymä, joka on aivojen kehitykseen vaikuttava häiriö.

Emcitaten vaikuttava aine on tiratrikoli, ja se on hybridilääke. Tämä tarkoittaa, että se on samankaltainen kuin samaa vaikuttavaa ainetta sisältävä viitevalmiste, mutta valmisteiden välillä on tiettyjä eroja. Emcitatea on saatavana dispergoituvina tabletteina (sekoitetaan veteen ennen ottamista), kun taas viitevalmistetta oli saatavana suun kautta otettavina tabletteina. Emcitaten viitevalmiste on Téatrois, jota myytiin Ranskassa kilpirauhashormonin resistenssioireyhtymän hoitoon.

MCT8:n puutos on harvinainen sairaus, ja Emcitate nimettiin ns. harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 8. marraskuuta 2017. Lisätietoa harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on EMAn [verkkosivustolla](#).

Miten Emcitatea käytetään?

Emcitatea saa ainoastaan lääkärin määräyksestä, ja hoidon saa aloittaa vain lääkäri, jolla on kokemusta harvinaisia geneettisiä sairauksia sairastavien potilaiden hoidosta, ja hänen on myös valvottava hoitoa.

Lääkevalmistetta on saatavana dispergoituvina tabletteina, jotka otetaan 1–3 kertaa vuorokaudessa. Tabletit on dispergoitava (sekoitettava) pieneen vesimäärään, minkä jälkeen ne annetaan ruiskulla suuhun tai ruokintaletkun kautta. Aloitusannos määräytyy potilaan painon mukaan. Annosta suurennetaan vähitellen kahden viikon välein, kunnes kilpirauhashormoni trijodityroniinin (T3), pitoisuus veressä on laskenut riittävästi.

Lisätietoja Emcitaten käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

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



Miten Emcitate vaikuttaa?

MCT8:n puutteeseen liittyvä tyrotoksikoosi johtuu mutaatiosta (muutoksesta) geenissä, joka antaa ohjeet MCT8-nimisen proteiinin valmistukseen. Normaalisti tämä proteiini kuljettaa T3-kilpirauhashormonin eri kudosten ja elinten soluihin, myös aivojen soluihin. Geenimutaatiosta johtuen MCT8 ei toimi kunnolla, joten T3 ei pääse aivosoluihin, mikä aiheuttaa ongelmia aivojen ja lihasten kehityksessä. Se aiheuttaa myös T3-hormonin kertymistä muualle elimistöön, mikä aiheuttaa liiallisesta kilpirauhashormonin määrästä (hypertyreoosista) johtuvia ongelmia. Emcitaten vaikuttava aine tiratrikoli on hyvin samankaltainen kuin T3, mutta se ei tarvitse MCT8:aa päästäkseen sisään soluihin ja niistä ulos. Lääkkeen odotetaan näin ollen pääsevän elimistön soluihin potilailla, joilla on MCT8:n puutos, ja korvaavan puuttuvan T3-hormonin. Tämä auttaa palauttamaan kilpirauhashormonin normaalin toiminnan elimistössä ja vähentää perifeerisen tyreotoksikoosin oireita.

Mitä hyötyä Emcitatesta on havaittu tutkimuksissa?

Päätutkimukseen osallistui 46 sairauden oireita aiheuttavaa MCT8:n puutosta sairastavaa lasta ja aikuista. Siinä havaittiin, että Emcitate-hoito pienensi veren T3-arvoa keskimäärin pitoisuudesta 4,97 nmol/l pitoisuuteen 1,82 nmol/l 12 kuukauden hoidon jälkeen. Tuloksia tukevat tiedot osoittivat myös, että tyreotoksikoosin oireet, kuten nopeutunut sydämen syke, korkea verenpaine ja eteisliälälyönnit (ylimääräiset sydämenlyönnit) paranivat hiukan. Tutkimuksessa Emcitatea ei verrattu toiseen lääkkeeseen tai lumelääkkeeseen.

Mitä riskejä Emcitateen liittyy?

Pakkauselosteessa on luettelo kaikista Emcitaten haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Emcitaten yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua enintään yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat hyperhidroosi (liiallinen hikoilu), ripuli, ärtyneisyys, ahdistuneisuus ja painajaiset. Nämä haittavaikutukset ilmenevät yleensä hoidon alussa tai kun annosta suurennetaan, ja yleensä ne paranevat muutaman päivän kuluessa.

Emcitatea ei saa käyttää kilpirauhasen liikatoiminnan muiden syiden hoitoon. Sitä ei myöskään saa ottaa raskauden aikana.

Miksi Emcitate on hyväksytty EU:ssa?

Hyväksynnän ajankohtana EU:ssa ei ollut hyväksyttyä hoitoa MCT8:n puutoksen aiheuttaman perifeerisen tyreotoksikoosin hoitoon, joka on hyvin harvinainen ja vakava sairaus. Tutkimuksessa, johon osallistui MCT8:n puutetta sairastavia potilaita, osoitettiin, että Emcitate pienentää T3-kilpirauhashormonin keskimääräisiä pitoisuuksia ja parantaa hieman perifeerisen tyreotoksikoosin oireita. Emcitaten turvallisuus on verrattavissa viitevalmisteen turvallisuuteen, ja sitä pidetään hyväksyttävänä, kun annostus ja seuranta ovat asianmukaisia.

Näin ollen lääkevirasto katsoi, että Emcitatesta saatava hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Miten voidaan varmistaa Emcitaten turvallinen ja tehokas käyttö?

Suositukset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Emcitaten käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät valmisteyhteenvetoon ja pakkauselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Emciten käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Emcitatesta ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Emcitatesta

Lisätietoja Emcitatesta on viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/emcitate.

Tämä yhteenveto on päivitetty viimeksi 01-2025.