

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

Emcitate (*tiratricol*)

Aperçu d'Emcitate et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

Qu'est-ce qu'Emcitate et dans quel cas est-il utilisé?

Emcitate est un médicament utilisé dans le traitement de la thyrotoxicose périphérique (taux sanguin excessif de certaines hormones thyroïdiennes) chez les personnes présentant un déficit en transporteur 8 de monocarboxylate (MCT8). Le déficit en MCT8 est également connu sous le nom de syndrome d'Allan-Herndon-Dudley, un trouble affectant le développement cérébral.

Emcitate contient la substance active tiratricol et est un médicament hybride. Cela signifie qu'il est similaire à un «médicament de référence» contenant la même substance active, mais qu'il existe certaines différences entre les deux: Emcitate est disponible sous forme de comprimés dispersibles (à mélanger avec de l'eau avant la prise), tandis que le médicament de référence était disponible sous forme de comprimés à prendre par voie orale. Le médicament de référence pour Emcitate est Téatrois, qui a été commercialisé en France pour le traitement du syndrome de résistance aux hormones thyroïdiennes.

Le déficit en MCT8 est rare et Emcitate a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 8 novembre 2017. Des informations complémentaires sur les désignations de médicaments orphelins sont disponibles sur le [site web](#) de l'EMA.

Comment Emcitate est-il utilisé?

Emcitate n'est délivré que sur ordonnance et le traitement doit être instauré et surveillé par un médecin expérimenté dans la prise en charge de patients atteints de maladies génétiques rares.

Le médicament est disponible sous forme de comprimés dispersibles à prendre une à trois fois par jour. Les comprimés doivent être dispersés (mélangés) dans une petite quantité d'eau, puis administrés par seringue dans la bouche ou au moyen d'un tube d'alimentation. La dose de départ dépend du poids corporel du patient. La dose est augmentée progressivement toutes les deux semaines jusqu'à ce que les taux sanguins de l'hormone thyroïdienne triiodothyronine (T3) soient suffisamment abaissés.

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



Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation d'Emcitate, voir la notice ou contacter votre médecin ou votre pharmacien.

Comment Emcitate agit-il?

La thyrotoxicose apparaissant dans le cadre du déficit en MCT8 est due à une mutation (modification) du gène qui fournit des instructions pour la fabrication d'une protéine appelée MCT8. Cette protéine transporte normalement l'hormone thyroïdienne T3 dans les cellules de divers tissus et organes, y compris ceux du cerveau. En raison de la mutation génétique, la protéine MCT8 n'agit pas correctement et l'hormone T3 ne peut donc pas pénétrer dans les cellules cérébrales, ce qui entraîne des problèmes de développement du cerveau et des muscles. Cela entraîne également une accumulation de l'hormone T3 dans d'autres parties du corps, ce qui engendre des problèmes dus à une quantité trop importante d'hormone thyroïdienne (hyperthyroïdie). La substance active d'Emcitate, le tiratricol, est très similaire à l'hormone T3, mais elle n'a pas besoin de la protéine MCT8 pour entrer dans les cellules et en sortir. Le médicament devrait donc pénétrer dans les cellules de l'organisme chez les patients présentant un déficit en MCT8 et remplacer l'hormone T3 manquante. Cela aide à rétablir l'activité normale de l'hormone thyroïdienne dans le corps et à réduire les symptômes de la thyrotoxicose périphérique.

Quels sont les bénéfices d'Emcitate démontrés au cours des études?

Une étude principale portant sur 46 enfants et adultes atteints d'un déficit en MCT8 à l'origine des symptômes de la maladie a montré que le traitement par Emcitate réduisait le taux sanguin moyen de T3 de 4,97 nmol/l à 1,82 nmol/l après 12 mois de traitement. Des données complémentaires ont également montré de légères améliorations des signes de thyrotoxicose, tels que l'augmentation de la fréquence cardiaque, de la pression artérielle et des contractions auriculaires précoces (battements cardiaques supplémentaires). Dans l'étude, Emcitate n'a pas été comparé à un autre médicament ou à un placebo (un traitement fictif).

Quels sont les risques associés à l'utilisation d'Emcitate?

Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions associés à Emcitate, voir la notice.

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Emcitate (qui peuvent toucher jusqu'à une personne sur 10) sont notamment l'hyperhidrose (transpiration excessive), la diarrhée, l'irritabilité, l'anxiété et les cauchemars. Ces effets indésirables surviennent généralement au début du traitement ou lorsque la dose est augmentée, et tendent à s'estomper au bout de quelques jours.

Emcitate ne doit pas être utilisé pour traiter d'autres causes d'hyperthyroïdie. Il ne doit pas non plus être pris pendant la grossesse.

Pourquoi Emcitate est-il autorisé dans l'UE?

Au moment de l'approbation, il n'existant pas de traitement autorisé dans l'UE pour la thyrotoxicose périphérique causée par un déficit en MCT8, qui est une maladie très rare et grave. Une étude portant sur des patients présentant un déficit en MCT8 a montré qu'Emcitate réduit les niveaux moyens de l'hormone thyroïdienne T3 et entraîne de légères améliorations des signes de thyrotoxicose périphérique. La sécurité d'Emcitate est comparable à celle du médicament de référence et est considérée comme acceptable moyennant un dosage et une surveillance appropriés.

Par conséquent, l'Agence a estimé que les bénéfices d'Emcitate sont supérieurs à ses risques et que son utilisation peut être autorisée au sein de l'UE.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace d'Emcitate?

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace d'Emcitate ont été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation d'Emcitate sont surveillées en permanence. Les effets indésirables suspectés rapportés sous Emcitate sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

Autres informations relatives à Emcitate:

De plus amples informations sur Emcitate sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/emcitate.

Dernière mise à jour du présent aperçu: 01-2025.