



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Emcitate (*tiratrikol*)

Pregled informacija o lijeku Emcitate i zašto je odobren u EU-u

Što je Emcitate i za što se koristi?

Emcitate je lijek za liječenje periferne tireotoksikoze (prekomjerne razine određenih hormona štitnjače u krvi) u osoba s nedostatkom transportera monokarboksilata 8 (MCT8). Nedostatak MCT8 poznat je i kao sindrom Allan-Herndon-Dudley, poremećaj koji utječe na razvoj mozga.

Emcitate sadrži djelatnu tvar tiratrikol i hibridni je lijek. To znači da je sličan referentnom lijeku koji sadrži istu djelatnu tvar, iako postoje određene razlike između njih. Lijek Emcitate dostupan je u obliku tableta koje se miješaju se s vodom prije uzimanja, dok je referentni lijek bio dostupan u obliku tableta koje se uzimaju kroz usta. Referentni lijek za lijek Emcitate je Téatrois, koji je u Francuskoj stavljen u promet za liječenje sindroma otpornosti na hormon štitnjače.

Nedostatak enzima MCT8 rijetka je bolest, a lijek Emcitate dobio je status „lijeka za rijetku bolest” 8. studenoga 2017. Više informacija o statusu lijekova za rijetke bolesti dostupno je na EMA-inom [mrežnom mjestu](#).

Kako se Emcitate primjenjuje?

Emcitate se izdaje samo na recept, a liječenje treba započeti i nadzirati liječnik s iskustvom u liječenju bolesnika s rijetkim genetskim poremećajima.

Lijek je dostupan u obliku tableta za oralnu suspenziju koje se uzimaju jednom do tri puta na dan. Tablete treba rastopiti (izmiješati) u maloj količini vode te ih nakon toga štrcaljkom ubrizgati u usta ili primijeniti kroz cjevčicu za hranjenje. Početna doza lijeka ovisi o tjelesnoj težini bolesnika. Doza se postupno povećava svaka dva tjedna sve dok se razine hormona štitnjače triiodotironina (T3) u krvi dovoljno ne spuste.

Za više informacija o primjeni lijeka Emcitate pročitajte uputu o lijeku, odnosno obratite se liječniku ili ljekarniku.

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



Kako djeluje Emcitate?

Tireotoksikoza u slučaju nedostatka MCT8 uzrokovana je mutacijom (promjenom) gena koji daje upute za stvaranje bjelančevine naziva MCT8. Ta bjelančevina obično prenosi hormon štitnjače T3 u stanice različitih tkiva i organa, uključujući moždane stanice. Zbog genetske mutacije MCT8 ne radi ispravno i stoga T3 ne može ući u stanice mozga, što uzrokuje probleme s razvojem mozga i mišića. To dovodi i do nakupljanja T3 u drugim dijelovima organizma, što uzrokuje probleme zbog prevelike količine hormona štitnjače (hipertireoidizma). Djelatna tvar lijeka Emcitate, tiratrikol, vrlo je slična lijeku T3, ali mu za premještanje u stanice i iz njih nije potreban MCT8. Stoga se očekuje da će lijek ući u tjelesne stanice bolesnika s nedostatkom MCT8-a i zamijeniti hormon T3 koji nedostaje. To pomaže u ponovnoj uspostavi normalne aktivnosti hormona štitnjače u tijelu i smanjenju simptoma periferne tireotoksikoze.

Koje su koristi od lijeka Emcitate utvrđene u ispitivanjima?

U glavnom ispitivanju koje je obuhvatilo 46-ero djece i odraslih s nedostatkom MCT8 koji uzrokuje simptome bolesti utvrđeno je da je terapija lijekom Emcitate smanjila prosječnu razinu T3 u krvi s 4,97 nmol/l na 1,82 nmol/l nakon 12 mjeseci liječenja. Dodatni podatci pokazali su i mala poboljšanja znakova tireotoksikoze, kao što su povećana srčana frekvencija, visoki krvni tlak i prerane atrijske kontrakcije (brži otkucaji srca). U tom ispitivanju lijek Emcitate nije uspoređen s drugim lijekom ili placebom (prividnim liječenjem).

Koji su rizici povezani s lijekom Emcitate?

Potpuni popis nuspojava i ograničenja povezanih s lijekom Emcitate potražite u uputi o lijeku.

Najčešće nuspojave lijeka Emcitate (koje se mogu javiti u manje od 1 na 10 osoba) uključuju hiperhidrozu (prekomjerno znojenje), proljev, razdražljivost, anksioznost i noćne more. Te se nuspojave obično javljaju na početku liječenja ili pri povećanju doze te se obično ublažavaju u roku od nekoliko dana.

Emcitate se ne smije primjenjivati za liječenje drugih uzroka hipertireoidizma. Također se ne smije uzimati tijekom trudnoće.

Zašto je lijek Emcitate odobren u EU-u?

U trenutku izdavanja odobrenja u EU-u nije bilo odobrenog liječenja periferne tireotoksikoze uzrokovane nedostatkom gena MCT8, što je vrlo rijetko i teško stanje. Ispitivanje koje je obuhvatilo bolesnike s nedostatkom MCT8 pokazalo je da Emcitate smanjuje prosječnu razinu hormona štitnjače T3 i dovodi do malih poboljšanja simptoma periferne tireotoksikoze. Sigurnost lijeka Emcitate usporediva je sa sigurnošću referentnog lijeka i smatra se prihvatljivom uz odgovarajuće doziranje i praćenje.

Stoga je stav Agencije da koristi od lijeka Emcitate nadmašuju s njim povezane rizike te da lijek može biti odobren za primjenu u EU-u.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Emcitate?

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Emcitate nalaze se u sažetku opisa svojstava i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Emcitate kontinuirano se prate. Sumnje na nuspojave prijavljene za lijek Emcitate pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se sve potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

Ostale informacije o lijeku Emcitate

Više informacija o lijeku Emcitate dostupno je na mrežnom mjestu Agencije:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/emcitate.

Pregled informacija posljednji je put ažuriran u 1. 2025.