



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Emcitate (*tiratrikol*)

Az Emcitate-ra vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer az Emcitate és milyen betegségek esetén alkalmazható?

Az Emcitate a monokarboxilát transzporter 8 (MCT8) hiányban szenvedő betegeknél a perifériás tireotoxikózis (bizonyos pajzsmirigyhormonok túlzott vérszintje) kezelésére alkalmazott gyógyszer. Az MCT8-hiány az Allan-Hernon-Dudley szindróma néven is ismert, amely az agy fejlődését befolyásoló rendellenesség.

Az Emcitate egy tiratrikol nevű hatóanyagot tartalmazó hibrid gyógyszer. Ez azt jelenti, hogy hasonló a referencia-gyógyszerhez abban a tekintetben, hogy ugyanazt a hatóanyagot tartalmazza, de vannak bizonyos különbségek a két gyógyszer között. Az Emcitate diszpergálódó tabletta formájában kapható (vízzel kell összekeverni a bevétel előtt), míg a referencia-gyógyszer szájon át alkalmazandó tabletta formájában állt rendelkezésre. Az Emcitate referencia-gyógyszere a Téatrois, amelyet Franciaországban a pajzsmirigyhormon-rezisztencia szindróma kezelésére hoztak forgalomba.

Mivel az MCT8-hiány „ritkának” minősül, ezért az Emcitate-ot 2017. november 8-án „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről az EMA [honlapján](#) található.

Hogyan kell alkalmazni az Emcitate-ot?

Az Emcitate csak receptre kapható, és a kezelést a ritka genetikai rendellenességekben szenvedő betegek kezelésében jártas orvosnak kell megkezdenie és felügyelnie.

A gyógyszer diszpergálódó tabletta formájában kapható, amelyet naponta 1–3 alkalommal kell bevenni. A tablettákat kis mennyiségű vízben kell feloldani (elkeverni), majd fecskendővel a szájba vagy tápszondán keresztül kell beadni. A kezdőadag a beteg testtömegétől függ. Az adagot fokozatosan, kéthetente kell emelni mindaddig, amíg a trijód-tironin (T3) pajzsmirigyhormon szintje a vérben megfelelő mértékben csökken.

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



További információért az Emcitate alkalmazásáról olvassa el a betegtájékoztatót vagy kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

Hogyan fejt ki hatását az Emcitate?

Az MCT8-hiány esetén jelentkező tirotoxikózist a gén olyan mutációja (módosulása) okozza, amely utasításokat ad az MCT8 nevű fehérje előállítására. Ez a fehérje normál esetben a T3 pajzsmirigyhormont juttatja át a különböző szövetek és szervek sejtjeibe, beleértve az agyat is. A génmutáció miatt az MCT8 nem működik megfelelően, így a T3 nem tud bejutni az agysejtekbe, ami agyi és izomfejlődési problémákat okoz. Ez a szervezet más részeiben is T3 felhalmozódásához vezet, ami a túl sok pajzsmirigyhormon (pajzsmirigy-túlműködés) miatt problémákat okoz. Az Emcitate hatóanyaga, a tiratrikol, nagyon hasonló a T3-hoz, de nincs szüksége az MCT8-ra ahhoz, hogy a sejtekbe bejusson és onnan kikerüljön. Ezért az MCT8-hiányban szenvedő betegeknél a gyógyszer várhatóan bejut a szervezet sejtjeibe, és pótolja a hiányzó T3 hormont. Ez segít helyreállítani a pajzsmirigyhormon normális aktivitását a szervezetben, és csökkenti a perifériás tireotoxikózis tüneteit.

Milyen előnyei voltak az Emcitate alkalmazásának a vizsgálatok során?

Egy, a betegség tüneteit okozó MCT8-hiányban szenvedő 46 gyermeket és felnőttet bevonó fő vizsgálatban megállapították, hogy az Emcitate-kezelés 12 hónapos kezelést követően 4,97 nmol/l-ről 1,82 nmol/l-re csökkentette az átlagos T3 szintet. Az alátámasztó adatok szintén kis mértékű javulást mutattak a tireotoxikózis jeleiben, mint például a megnövekedett szívfrekvencia, a magas vérnyomás és a korai pitvarösszehúzódások (extra szívverések). A vizsgálatban az Emcitate-et nem hasonlították össze más gyógyszerrel vagy placebóval (hatóanyag nélküli kezelés).

Milyen kockázatokkal jár az Emcitate alkalmazása?

Az Emcitate alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Az Emcitate leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül legfeljebb 1-nél jelentkezhet) a hiperhidrózis (túlzott izzadás), a hasmenés, az ingerlékenység, a szorongás és a rémálmok. Ezek a mellékhatások általában a kezelés kezdetekor, illetve az adag emelésekor jelentkeznek, és általában néhány napon belül enyhülnek.

Az Emcitate-et nem szabad a pajzsmirigy-túlműködés egyéb okainak kezelésére alkalmazni. A gyógyszer terhesség alatt sem alkalmazható.

Miért engedélyezték az Emcitate forgalomba hozatalát az EU-ban?

A jóváhagyás időpontjában az EU-ban nem létezett engedélyezett kezelés az MCT8-hiány által okozott perifériás tireotoxikózisra, amely nagyon ritka és súlyos betegség. Egy, MCT8-hiányban szenvedő betegek bevonásával végzett vizsgálat azt mutatta, hogy az Emcitate csökkenti a T3 pajzsmirigyhormon átlagos szintjét, és a perifériás tireotoxikózis jeleinek kismértékű javulásához vezet. Az Emcitate biztonságossága hasonló a referencia-gyógyszeréhez, megfelelő adagolással és monitorozással elfogadhatónak tekinthető.

Ezért az Ügynökségnek az volt a véleménye, hogy az Emcitate alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

Milyen intézkedések vannak folyamatban az Emcitate biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

Az Emcitate biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

Az Emcitate alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. Az Emcitate alkalmazásával összefüggésben jelentett feltételezett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

Az Emcitate-tal kapcsolatos egyéb információ

Az Emcitate-tal kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/emcitate.

Az áttekintés utolsó aktualizálása: 01-2025.