



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Emcitate (*tiratricolo*)

Sintesi di Emcitate e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Emcitate e per cosa si usa?

Emcitate è un medicinale usato per il trattamento della tireotossicosi periferica (livelli ematici eccessivi di alcuni ormoni tiroidei) in soggetti con deficit del trasportatore 8 dei monocarbossilati (MCT8). Il deficit dell'MCT8 è noto anche come sindrome di Allan-Herndon-Dudley, un disturbo che incide sullo sviluppo cerebrale.

Emcitate contiene il principio attivo tiratricolo ed è un medicinale ibrido. Questo significa che è simile a un medicinale di riferimento che contiene lo stesso principio attivo, rispetto al quale tuttavia presenta alcune differenze. Emcitate è disponibile in compresse dispersibili (da miscelare con acqua prima dell'assunzione), mentre il medicinale di riferimento era disponibile in compresse da assumere per via orale. Il medicinale di riferimento di Emcitate è Téoatrois, commercializzato in Francia per il trattamento della sindrome da resistenza agli ormoni tiroidei.

Il deficit dell'MCT8 è raro ed Emcitate è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) l'8 novembre 2017. Ulteriori informazioni sulla qualifica di medicinale orfano sono disponibili sul [sito web](#) dell'EMA.

Come si usa Emcitate?

Emcitate può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica. Il trattamento deve essere iniziato e monitorato da un medico esperto nella gestione di pazienti con malattie genetiche rare.

Il medicinale è disponibile in compresse dispersibili da assumere 1-3 volte al giorno. Le compresse devono essere disperse (miscelate) in una piccola quantità di acqua e poi somministrate per via orale mediante una siringa o attraverso una sonda gastrica. La dose iniziale dipende dal peso corporeo del paziente. La dose viene aumentata gradualmente ogni due settimane fino a quando i livelli ematici dell'ormone tiroideo triiodotironina (T3) non vengono sufficientemente ridotti.

Per maggiori informazioni sull'uso di Emcitate, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

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



Come agisce Emcitate?

La tireotossicosi nel deficit dell'MCT8 è causata da una mutazione (variazione) del gene che fornisce istruzioni per la produzione di una proteina denominata MCT8. Questa proteina normalmente trasporta l'ormone tiroideo T3 nelle cellule di vari tessuti e organi, compresi quelli del cervello. A causa della mutazione genica, l'MCT8 non funziona correttamente e quindi il T3 non riesce a penetrare nelle cellule cerebrali. Ciò ha come conseguenza problemi di sviluppo a livello cerebrale e muscolare. Inoltre determina un accumulo di T3 in altre parti dell'organismo, provocando problemi dovuti a un eccesso di ormone tiroideo (ipertiroidismo). Il principio attivo di Emcitate, tiratricolo, è molto simile al T3, ma non necessita dell'MCT8 per passare all'interno e all'esterno delle cellule. Il medicinale dovrebbe pertanto penetrare nelle cellule dei pazienti con deficit dell'MCT8 e sostituire l'ormone T3 mancante, contribuendo così a ripristinare la normale attività degli ormoni tiroidei nell'organismo e a ridurre i sintomi della tireotossicosi periferica.

Quali benefici di Emcitate sono stati evidenziati negli studi?

In uno studio principale su 46 bambini e adulti con deficit dell'MCT8 associato a sintomi, il trattamento con Emcitate ha ridotto il livello medio di T3 nel sangue da 4,97 nmol/L a 1,82 nmol/L dopo 12 mesi di trattamento. Dati di supporto hanno inoltre mostrato lievi miglioramenti nei segni di tireotossicosi, come l'aumento della frequenza cardiaca, la pressione sanguigna elevata e le contrazioni atriali premature (battiti cardiaci extra). Nello studio Emcitate non è stato confrontato con un altro medicinale o con un placebo (trattamento fittizio).

Quali sono i rischi associati a Emcitate?

Per l'elenco completo delle limitazioni e degli effetti indesiderati rilevati con Emcitate, vedere il foglio illustrativo.

Gli effetti indesiderati più comuni di Emcitate (che possono riguardare fino a 1 persona su 10) comprendono iperidrosi (sudorazione eccessiva), diarrea, irritabilità, ansia e incubi. Questi effetti indesiderati di solito si manifestano all'inizio del trattamento o quando la dose è aumentata e tendono a attenuarsi nell'arco di qualche giorno.

Emcitate non deve essere usato per il trattamento di altre cause di ipertiroidismo. Inoltre, non deve essere assunto durante la gravidanza.

Perché Emcitate è autorizzato nell'UE?

Al momento dell'approvazione, nell'UE non erano disponibili trattamenti autorizzati per la tireotossicosi periferica causata dal deficit dell'MCT8, una patologia molto rara e grave. Uno studio condotto su pazienti con deficit dell'MCT8 ha dimostrato che Emcitate riduce i livelli medi dell'ormone tiroideo T3 e determina lievi miglioramenti nei segni della tireotossicosi periferica. La sicurezza di Emcitate è comparabile a quella del medicinale di riferimento ed è considerata accettabile con un dosaggio e un monitoraggio adeguati.

Pertanto, l'Agenzia ha ritenuto che i benefici di Emcitate siano superiori ai rischi e che il suo uso possa essere autorizzato nell'UE.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Emcitate?

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Emcitate sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Emcitate sono costantemente monitorati. I presunti effetti indesiderati riportati con Emcitate sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Emcitate

Ulteriori informazioni su Emcitate sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/emcitate.

Ultimo aggiornamento della presente sintesi: 01-2025.