



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Emcitate (*tiratrikolis*)

Emcitate apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

Kas yra Emcitate ir kam jis vartojamas?

Emcitate – tai vaistas, skirtas periferinės tirotoksikozės (padidėjusi tam tikrų skydliaukės hormonų koncentracija kraujyje) gydymui pacientams, kuriems nustatyta monokarboksilato nešiklio 8 (MCT8) stoka. MCT8 stoka taip pat vadinama Alano-Herndono-Dadlio sindromu (smegenų vystymosi sutrikimas).

Emcitate sudėtyje yra veikliosios medžiagos tiratrikolio ir tai yra hibridinis vaistas. Tai reiškia, kad jis yra panašus į referencinį vaistą, kuriame yra tokios pačios veikliosios medžiagos, bet šie du vaistai turi tam tikrų skirtumų. Emcitate tiekiamas disperguojamųjų tablečių (kurias prieš vartojant reikia sumaišyti su vandeniu), o referencinis vaistas – geriamųjų tablečių forma. Emcitate referencinis vaistas yra Téatrois, kuriuo Prancūzijoje buvo prekiaujama siekiant gydyti skydliaukės hormonų atsparumo sindromą.

MCT8 stoka laikoma reta liga, todėl 2017 m. lapkričio 8 d. Emcitate buvo priskirtas „retųjų vaistų“ (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. Daugiau informacijos apie priskyrimą retiesiems vaistams galima rasti EMA [interneto svetainėje](#).

Kaip vartoti Emcitate?

Emcitate galima įsigyti tik pateikus receptą; gydymą šiuo vaistu turi pradėti ir prižiūrėti gydytojas, turintis retų genetinių sutrikimų gydymo patirties.

Vaistas tiekiamas disperguojamųjų tablečių, kurias reikia vartoti 1–3 kartus per parą, forma. Tabletes reikia ištirpinti (išmaišyti) nedideliame kiekyje vandens ir vartoti per burną naudojant švirkštą arba maitinimo zondą. Pradinė vaisto dozė nustatoma pagal paciento kūno svorį. Dozė kas dvi savaites palaipsniui didinama, kol bus pakankamai sumažinta skydliaukės hormono trijodtironino (T3) koncentracija kraujyje.

Daugiau informacijos apie Emcitate vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.

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



Kaip veikia Emcitate?

Sergant MCT8 stoka tirotoksikozę sukelia geno, perduodančio nurodymus gaminti baltymą MCT8, mutacija (pakitimas). Paprastai šis baltymas perneša skydliaukės hormoną T3 į įvairių audinių ir organų, įskaitant galvos smegenų, ląsteles. Dėl geno mutacijos MCT8 veikia ne taip, kaip turėtų, todėl T3 negali patekti į smegenų ląsteles, o tai sukelia smegenų ir raumenų vystymosi problemų. Dėl to T3 taip pat kaupiasi kitose organizmo dalyse, sukeldamas problemų dėl per didelės skydliaukės hormonų koncentracijos (hipertirozė). Emcitate veikioji medžiaga tiratrikolis labai panaši į T3, tačiau jai nereikia MCT8, kad galėtų patekti į ląstelės vidų ir išsiskirti iš jos. Tikimasi, kad vaistas pateks į pacientų, kuriems nustatyta MCT8 stoka, organizmo ląsteles ir pakeis trūkstamą T3 hormoną. Tai padeda atstatyti skydliaukės hormonų veiklą organizme ir sumažinti periferinės tirotoksikozės simptomus.

Kokia Emcitate nauda nustatyta tyrimų metu?

Atliekant pagrindinį tyrimą su 46 vaikais ir suaugusiais, kuriems nustatyta MCT8 stoka, sukelianti ligos simptomus, nustatyta, kad taikant gydymą Emcitate po 12 gydymo mėnesių vidutinė T3 koncentracija kraujyje sumažėjo nuo 4,97 nmol/l iki 1,82 nmol/l. Patvirtinamieji duomenys taip pat parodė, kad šiek tiek pagerėjo tirotoksikozės požymiai, pvz., padidėjęs širdies susitraukimų dažnis, padidėjęs kraujospūdis ir priešlaikiniai prieširdžių susitraukimai (stipresnis širdies plakimas). Atliekant šį tyrimą, Emcitate nebuvo lyginamas su jokių kitų vaistų ar placebo (preparatu be veikliosios medžiagos).

Kokia rizika susijusi su Emcitate vartojimu?

Išsamų visų Emcitate šalutinio poveikio reiškinių ir apribojimų sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Dažniausias Emcitate šalutinis poveikis (galintis pasireikšti ne daugiau kaip 1 žmogui iš 10) yra hiperhidrozė (gausus prakaitavimas), viduriavimas, dirglumas, nerimas ir košmarai. Šie šalutinio poveikio reiškiniai paprastai pasireiškė gydymo pradžioje arba padidinus dozę ir paprastai išnyko per kelias dienas.

Emcitate draudžiama gydyti kitų priežasčių sukeltą hipertirozę. Jį taip pat draudžiama vartoti nėštumo metu.

Kodėl Emcitate buvo registruotas ES?

Patvirtinimo metu ES nebuvo įregistruota jokia periferinės tirotoksikozės, kurią sukelia MCT8 stoka – labai reta ir sunki liga – gydymo. Atliekant tyrimą su pacientais, kuriems nustatyta MCT8 stoka, nustatyta, kad vartojant Emcitate sumažėja vidutinė skydliaukės hormono T3 koncentracija ir šiek tiek palengvėja periferinės tirotoksikozės požymiai. Emcitate saugumas yra panašus į referencinio vaisto ir laikomas priimtiniu, jei taikomas tinkamas dozavimas ir stebėseną.

Todėl Agentūra laikėsi nuomonės, kad Emcitate nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, ir jis gali būti registruotas vartoti ES.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Emcitate vartojimą?

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtrauktos saugaus ir veiksmingo Emcitate vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Emcitate vartojimo duomenys yra nuolatos stebimi. Įtariamas Emcitate šalutinis poveikis yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

Kita informacija apie Emcitate

Daugiau informacijos apie Emcitate rasite Agentūros tinklalapyje adresu:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/emcitate.

Ši apžvalga paskutinį kartą atnaujinta 2025-01.