



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Emcitate (*tiratrikols*)

*Emcitate* pārskats un kāpēc tās ir reģistrētas ES

### Kas ir *Emcitate* un kāpēc tās lieto?

*Emcitate* ir zāles, ko lieto perifēras tireotoksikozes (pārmērīga noteiktu vairogdziedzera hormonu līmeņa asinīs) ārstēšanai cilvēkiem ar monokarboksilāta transportvielas 8 (MCT8) deficītu. MCT8 deficīts ir zināms arī kā Allana-Herndona-Dadlija sindroms, kas ietekmē smadzeņu attīstību.

*Emcitate* satur aktīvo vielu tiratrikolu un ir hibrīdzāles. Tas nozīmē, ka tās ir līdzīgas “atsauces zālēm”, kas satur to pašu aktīvo vielu, bet starp abām šīm zālēm ir noteiktas atšķirības. *Emcitate* ir pieejamas kā disperģējamas tabletes (pirms lietošanas jāsamaisa ar ūdeni), bet atsauces zāles bija pieejamas iekšķīgi lietojamu tablešu veidā. *Emcitate* atsauces zāles ir *Téatrois*, kas Francijā tika tirgotas vairogdziedzera hormonu rezistences sindroma ārstēšanai.

MCT8 deficīts ir reta slimība, un 2017. gada 8. novembrī *Emcitate* tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss. Detalizēta informācija par retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodama EMA [tīmekļa vietnē](#).

### Kā lieto *Emcitate*?

*Emcitate* var iegādāties tikai pret recepti, un ārstēšana ir jāsāk un jāuzrauga ārstam ar pieredzi retu ģenētisku slimību pacientu ārstēšanā.

Zāles ir pieejamas kā disperģējamas tabletes, kas jālieto vienu līdz trīs reizes dienā. Tabletes ir jāizšķīdina (jāiema) nelielā ūdens daudzumā un pēc tam ar šļirci jāievada mutē vai caur barošanas caurulīti. Sākmdeva ir atkarīga no pacienta ķermeņa masas. Devu palielina pakāpeniski ik pēc divām nedēļām, līdz vairogdziedzera hormona trijodtironīna (T3) līmenis asinīs ir pietiekami pazemināts.

Papildu informāciju par *Emcitate* lietošanu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā vai jautāt ārstam vai farmaceitam.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## Kā *Emcitate* darbojas?

Tireotoksikozi MCT8 deficīta gadījumā izraisa mutācija (izmaiņas) gēnā, kas sniedz norādījumus par proteīna, ko dēvē par MCT8, sintēzi. Šis proteīns parasti pārnes vairogdziedzera hormonu T3 dažādu audu un orgānu, tostarp smadzeņu, šūnās. Gēnu mutācijas dēļ MCT8 nedarbojas pareizi, tāpēc T3 nevar iekļūt smadzeņu šūnās, izraisot smadzeņu un muskuļu attīstības problēmas. Tas izraisa arī T3 uzkrāšanos citās ķermeņa daļās, radot problēmas pārāk augsta vairogdziedzera hormona (hipertireoidisma) līmeņa dēļ. *Emcitate* aktīvā viela tiratrikols ir ļoti līdzīga T3 vielai, bet tai nav nepieciešams MCT8, lai pārvietotos šūnās un ārā no tām. Tāpēc paredzams, ka zāles nonāks organisma šūnās pacientiem ar MCT8 deficītu un aizstās trūkstozo T3 hormonu. Tas palīdz atjaunot normālu vairogdziedzera hormonu aktivitāti organismā un mazināt perifērās tireotoksikozes simptomus.

## Kādi *Emcitate* ieguvumi atklāti pētījumos?

Pamatpētījumā, iesaistot 46 bērnus un pieaugušos ar MCT8 deficītu, kas izraisa slimības simptomus, tika konstatēts, ka pēc 12 mēnešu ārstēšanas ārstēšana ar *Emcitate* samazināja vidējo T3 līmeni asinīs no 4,97 nmol/l līdz 1,82 nmol/l. Atbalstošie dati liecināja arī par nelielu tireotoksikozes pazīmju uzlabošanos, piemēram, paātrināta sirdsdarbība, paaugstināts asinsspiediens un priekšlaicīgas priekškambaru kontrakcijas (paātrināts pulss). Pētījumā *Emcitate* netika salīdzināta ar citām zālēm vai placebo (fiktīva ārstēšana).

## Kāds risks pastāv, lietojot *Emcitate*?

Pilnu visu blakusparādību un ierobežojumu sarakstu, lietojot *Emcitate*, skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Visbiežākās *Emcitate* blakusparādības (kas var rasties līdz 1 no 10 cilvēkiem) ir hiperhidroze (pārmērīga svīšana), caureja, aizkaitināmība, trauksme un nakts murgi. Šīs blakusparādības parasti rodas ārstēšanas sākumā vai pēc devas palielināšanas, un tām ir tendence izzust dažu dienu laikā.

*Emcitate* nedrīkst lietot, lai ārstētu citus hipertireoidisma cēloņus. Tās nedrīkst lietot arī grūtniecības laikā.

## Kāpēc *Emcitate* ir reģistrētas ES?

Apstiprināšanas laikā Eiropas Savienībā nebija reģistrētas zāles MCT8 deficīta izraisītas perifēras tireotoksikozes ārstēšanai, kas ir ļoti reta un nopietna saslimšana. Pētījumā, kurā piedalījās pacienti ar MCT8 deficītu, tika pierādīts, ka *Emcitate* samazina vidējo vairogdziedzera hormona T3 līmeni un nedaudz uzlabo perifērās tireotoksikozes pazīmes. *Emcitate* drošums ir salīdzināms ar atsaucē zāļu drošumu un tiek uzskatīts par pieņemamu, veicot atbilstošu dozēšanu un uzraudzību.

Tāpēc aģentūra uzskatīja, ka ieguvums, lietojot *Emcitate*, pārsniedz šo zāļu radīto risku un zāles var reģistrēt lietošanai ES.

## Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Emcitate* lietošanu?

Zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Emcitate* lietošanu.

Tāpat kā par visām zālēm, dati par *Emcitate* lietošanu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Ziņotās ar *Emcitate* lietošanu saistītās iespējamās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai nepieciešamie pasākumi.

### **Cita informācija par *Emcitate***

Sīkāka informācija par *Emcitate* ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē:  
[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/emcitate](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/emcitate).

Šis kopsavilkums pēdējo reizi atjaunināts 2025. gada janvārī.