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

Emcitate (*tiratricol*)

Ħarsa ġenerali lejn Emcitate u għalfejn huwa awtorizzat fl-UE

X'inhu Emcitate u għal xiex jintuża?

Emcitate huwa mediċina li tintuża għat-trattament ta' tirotossikożi periferali (livelli eċċessivi fid-demm ta' ċerti ormoni tat-tirojde) f'persuni b'defiċjenza ta' monocarboxylate transporter 8 (MCT8). Id-defiċjenza tal-MCT8 hija magħrufa wkoll bħala s-sindrome ta' Allan-Herndon-Dudley, disturb li jaffettwa l-iżvilupp tal-moħħ.

Emcitate fih is-sustanza attiva tiratricol u huwa mediċina ibrida. Dan ifisser li huwa simili għal mediċina ta' referenza li fiha l-istess sustanza attiva, iżda hemm ċerti differenzi bejn it-tnejn. Emcitate jiġi bħala pilloli li jinħallu (li għandhom jitħalltu mal-ilma qabel jittieħdu), filwaqt li l-mediċina ta' referenza ġiet disponibbli bħala pilloli li għandhom jittieħdu mill-ħalq. Il-mediċina ta' referenza għal Emcitate hija Téatrois, li tqiegħdet fis-suq fi Franza għat-trattament tas-sindrome ta' reżistenza għall-ormoni tat-tirojde.

Id-defiċjenza ta' MCT8 hija rari, u Emcitate ġie denominat bħala "mediċina orfni" (mediċina li tintuża f'mard rari) fit-8 ta' Novembru 2017. Aktar informazzjoni dwar id-denominazzjoni orfni tinstab fuq is-sit web tal-EMA.

Kif jintuża Emcitate?

Emcitate jista' jinkiseb biss b'riċetta ta' tabib, u t-trattament għandu jinbeda u jiġi ssorveljat minn tabib li jkollu esperjenza fil-ġestjoni ta' pazjenti b'disturbi ġenetiċi rari.

Il-mediċina tiġi bħala pilloli li jinħallu li għandhom jittieħdu minn darba sa tliet darbiet kuljum. Il-pilloli għandhom jinħallu (jitħalltu) f'ammont żgħir ta' ilma u mbagħad jingħataw b'siringa fil-ħalq jew permezz ta' tubu tal-ikel. Id-doża tal-bidu tiddependi fuq il-piż tal-ġisem tal-pazjent. Id-doża tiżdied gradwalment kull ġimagħtejn sakemm il-livelli tal-ormon tat-tirojde triijodotironina (T3) fid-demm jitnaqqsu biżżejjed.

Għal aktar informazzjoni dwar l-użu ta' Emcitate, ara l-fuljett ta' tagħrif jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispiżjar tiegħek.

© European Medicines Agency, 2025. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

Kif jaħdem Emcitate?

It-tirotossikożi f'defiċjenza ta' MCT8 hija kkawżata minn mutazzjoni (bidla) fil-ġene li tipprovdi struzzjonijiet biex issir proteina msejħa MCT8. Din il-proteina normalment tittrasporta l-ormon tat-tirojde T3 fiċ-ċelloli ta' diversi tessuti u organi, inklużi dawk tal-moħħ. Minħabba l-mutazzjoni tal-ġene, l-MCT8 ma jaħdimx kif suppost u għalhekk it-T3 ma jkunx jista' jidħol fiċ-ċelloli tal-moħħ, u dan jikkawża problemi fl-iżvilupp tal-moħħ u tal-muskoli. Dan iwassal ukoll għal akkumulazzjoni ta' T3 f'partijiet oħra tal-ġisem, li jikkawża problemi minħabba wisq ormon tat-tirojde (ipertirojdiżmu). Is-sustanza attiva f'Emcitate, tiratricol, hija simili ħafna għal T3 iżda ma għandhiex bżonn l-MCT8 biex tiċċaqlaq fiċ-ċelloli u 'l barra minnhom. Għalhekk, il-mediċina hija mistennija li tidħol fiċ-ċelloli tal-ġisem f'pazjenti b'defiċjenza ta' MCT8 u tissostitwixxi l-ormon T3 nieqes. Dan jgħin biex tiġi restawrata l-attività normali tal-ormon tat-tirojde fil-ġisem u jitnaqqsu s-sintomi tat-tirotossikożi periferali.

X'inhuma l-benefiċċji ta' Emcitate li ħarġu mill-istudji?

Studju ewlieni li involva 46 tifel u tifla u adulti b'defiċjenza tal-MCT8 li tikkawża sintomi tal-marda sab li t-trattament b'Emcitate naqqas il-livell medju tad-demm T3 minn 4.97 nmol/l għal 1.82 nmol/l wara 12-il xahar ta' trattament. *Data* ta' appoġġ uriet ukoll titjib żgħir f'sinjali ta' tirotossikożi bħal żieda fir-rata ta' taħbit tal-qalb, pressjoni tad-demm għolja u kontrazzjonijiet atrijali prematuri (taħbit tal-qalb żejjed). Fl-istudju, Emcitate ma tqabbilx ma' mediċina oħra jew ma' plaċebo (trattament fint).

X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Emcitate?

Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji u r-restrizzjonijiet ta' Emcitate, ara l-fuljett ta' tagħrif.

L-effetti sekondarji l-aktar komuni b'Emcitate (li jistgħu jaffettwaw sa persuna 1 minn kull 10) jinkludu iperidrożi (għaraq eċċessiv), dijarea, irritabbiltà, ansjetà u ħmarijiet il-lejl. Dawn l-effetti sekondarji normalment iseħħu fil-bidu tat-trattament, jew meta tiżdied id-doża, u għandhom it-tendenza li jitjiebu fi żmien ftit jiem.

Emcitate m'għandux jintuża fit-trattament ta' kawżi oħra ta' ipertirojdiżmu. Lanqas ma għandu jittieħed matul it-tqala.

Għaliex Emcitate ġie awtorizzat fl-UE?

Fiż-żmien tal-approvazzjoni, ma kien hemm l-ebda trattament awtorizzat fl-UE għat-tirotossikożi periferali kkawżata mid-defiċjenza tal-MCT8, li hija kundizzjoni rari ħafna u serja. Studju li involva pazjenti b'defiċjenza tal-MCT8 wera li Emcitate jnaqqas il-livelli medji tal-ormon tat-tirojde T3 u jwassal għal titjib żgħir fis-sinjali ta' tirotossikożi periferali. Is-sigurtà ta' Emcitate hija komparabbli ma' dik tal-mediċina ta' referenza u hija kkunsidrata aċċettabbli b'dożaġġ u monitoraġġ xierqa.

Għaldaqstant, l-opinjoni tal-Aġenzija kienet li l-benefiċċji ta' Emcitate huma akbar mir-riskji tiegħu u li jista' jiġi awtorizzat għall-użu fl-UE.

X'miżuri qegħdin jittieħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Emcitate?

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif ġew inklużi r-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzjonijiet li għandhom jiġu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Emcitate.

Bħal fil-każ tal-mediċini kollha, id-*data* dwar l-użu ta' Emcitate hija ssorveljata kontinwament. L-effetti sekondarji ssuspettati rrapportati b'Emcitate huma evalwati bir-reqqa u kull azzjoni meħtieġa hi meħuda biex tipproteġi lill-pazjenti.

Informazzjoni oħra dwar Emcitate

Aktar informazzjoni dwar Emcitate tinstab fis-sit web tal-Aġenzija: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/emcitate.

Din il-ħarsa ġenerali ġiet aġġornata l-aħħar f'01-2025.