



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Emcitate (*tiratricol*)

Een overzicht van Emcitate en waarom het is geregistreerd in de EU

Wat is Emcitate en wanneer wordt het voorgeschreven?

Emcitate is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor de behandeling van perifere thyreotoxicose (overmatige concentratie van bepaalde schildklierhormonen in het bloed) bij mensen met monocarboxylaattransporter 8 (MCT8) -deficiëntie. MCT8-deficiëntie wordt ook wel Allan-Herndon-Dudley-syndroom genoemd, een aandoening die de ontwikkeling van de hersenen beïnvloedt.

Emcitate bevat de werkzame stof tiratricol en is een hybride geneesmiddel. Dit betekent dat het gelijk is aan een 'referentiegeneesmiddel' dat dezelfde werkzame stof bevat, maar dat er ook bepaalde verschillen zijn tussen beide middelen. Emcitate is verkrijgbaar in de vorm van dispergeerbare tabletten (die vóór inname met water moeten worden gemengd), terwijl het referentiegeneesmiddel verkrijgbaar is in de vorm van tabletten die via de mond moeten worden ingenomen. Het referentiegeneesmiddel voor Emcitate is Téatrois, dat in Frankrijk in de handel is gebracht voor de behandeling van schildklierhormoonresistentiesyndroom.

MCT8-deficiëntie is zeldzaam, en Emcitate werd op 8 november 2017 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel vindt u op de [website](#) van het Europees Geneesmiddelenbureau.

Hoe wordt Emcitate gebruikt?

Emcitate is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en de behandeling moet worden gestart door en plaatsvinden onder toezicht van een arts die ervaring heeft met de behandeling van patiënten met zeldzame genetische aandoeningen.

Het geneesmiddel is verkrijgbaar in de vorm van dispergeerbare tabletten die 1 tot 3 keer per dag moeten worden ingenomen. De tabletten moeten worden gedispergeerd (gemengd) in een kleine hoeveelheid water en vervolgens via een injectiespuit in de mond of via een voedingssonde worden toegediend. De aanvangsdosis is afhankelijk van het lichaamsgewicht van de patiënt. De dosis wordt

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



om de twee weken geleidelijk verhoogd totdat de bloedconcentratie van het schildklierhormoon triiodothyronine (T3) voldoende is verlaagd.

Raadpleeg de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Emcitate.

Hoe werkt Emcitate?

Thyreotoxicose bij MCT8-deficiëntie wordt veroorzaakt door een mutatie (verandering) in het gen dat instructies geeft voor de aanmaak van het eiwit MCT8. Dit eiwit vervoert gewoonlijk het schildklierhormoon T3 naar cellen van verschillende weefsels en organen, waaronder die van de hersenen. Vanwege de genmutatie werkt MCT8 niet goed en kan T3 dus niet in de hersencellen terechtkomen, wat problemen met de ontwikkeling van de hersenen en spieren veroorzaakt. Het leidt ook tot een ophoping van T3 in andere delen van het lichaam, wat problemen veroorzaakt door te veel schildklierhormoon (hyperthyreoïdie). De werkzame stof in Emcitate, tiratricol, lijkt sterk op T3, maar heeft geen MCT8 nodig om zich in en uit cellen te verplaatsen. Daarom wordt verwacht dat het geneesmiddel bij patiënten met MCT8-deficiëntie de lichaamscellen binnendringt en het ontbrekende T3-hormoon vervangt. Dit helpt de normale schildklierhormoonactiviteit in het lichaam te herstellen en de symptomen van perifere thyreotoxicose te verminderen.

Welke voordelen bleek Emcitate tijdens de studies te hebben?

Uit een hoofdstudie onder 46 kinderen en volwassenen met MCT8-deficiëntie die ziektesymptomen veroorzaakt, bleek dat behandeling met Emcitate na 12 maanden behandeling de gemiddelde T3-concentratie in het bloed verlaagde van 4,97 nmol/l tot 1,82 nmol/l. Ondersteunende gegevens lieten ook kleine verbeteringen zien in de tekenen van thyreotoxicose, zoals een verhoogde hartslag, hoge bloeddruk en voortijdige atriumcontracties (extra hartslagen). In het onderzoek werd Emcitate niet vergeleken met een ander geneesmiddel of placebo (een schijnbehandeling).

Welke risico's houdt het gebruik van Emcitate in?

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van de bijwerkingen van en beperkende voorwaarden voor Emcitate.

De meest voorkomende bijwerkingen van Emcitate (die bij maximaal 1 op de 10 personen kunnen optreden) zijn hyperhidrose (overmatig zweten), diarree, prikkelbaarheid, angst en nachtmerries. Deze bijwerkingen treden meestal op aan het begin van de behandeling of wanneer de dosis wordt verhoogd, en nemen doorgaans binnen enkele dagen af.

Emcitate mag niet worden gebruikt voor de behandeling van andere oorzaken van hyperthyreoïdie. Het mag evenmin worden ingenomen tijdens de zwangerschap.

Waarom is Emcitate geregistreerd in de EU?

Ten tijde van de goedkeuring was er in de EU geen goedgekeurde behandeling voor perifere thyreotoxicose veroorzaakt door MCT8-deficiëntie, een zeer zeldzame en ernstige aandoening. Uit een studie onder patiënten met MCT8-deficiëntie is gebleken dat Emcitate de gemiddelde concentratie van het schildklierhormoon T3 verlaagt en leidt tot kleine verbeteringen in de tekenen van perifere thyreotoxicose. De veiligheid van Emcitate is vergelijkbaar met die van het referentiegeneesmiddel en wordt beschouwd als aanvaardbaar bij juiste dosering en monitoring.

Daarom was het Geneesmiddelenbureau van mening dat de voordelen van Emcitate groter zijn dan de risico's en dat dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Emcitate te waarborgen?

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Emcitate, zijn opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Emcitate continu gevolgd. Vermoedelijke bijwerkingen waargenomen voor Emcitate worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig worden maatregelen getroffen om patiënten te beschermen.

Overige informatie over Emcitate

Meer informatie over Emcitate is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/emcitate.

Dit overzicht is voor het laatst bijgewerkt in 01-2025.