



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Emcitate (*tyratrykol*)

Przegląd wiedzy na temat leku Emcitate i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Czym jest lek Emcitate i w jakim celu się go stosuje

Emcitate jest lekiem stosowanym w leczeniu tyreotoksykozy obwodowej (nadmiernego stężenia niektórych hormonów tarczycy we krwi) u osób z niedoborem transportera monokarboksylanu 8 (MCT8). Niedobór MCT8 znany jest również jako zespół Allana-Herndona-Dudleya, zaburzenie wpływające na rozwój mózgu.

Substancją czynną zawartą w leku Emcitate jest tyratrykol. Emcitate jest lekiem hybrydowym. Oznacza to, że jest podobny do leku referencyjnego zawierającego tę samą substancję czynną, lecz istnieją pewne różnice między tymi dwoma lekami. Lek Emcitate jest dostępny w postaci tabletek rozpuszczalnych (do zmieszania z wodą przed przyjęciem), natomiast lek referencyjny był dostępny w postaci tabletek do przyjmowania doustnego. Lekiem referencyjnym dla leku Emcitate jest Téatrois, który został wprowadzony do obrotu we Francji z przeznaczeniem do stosowania w leczeniu zespołu oporności na hormon tarczycy.

Ze względu na to, że niedobór MCT8 jest chorobą rzadko występującą, w dniu 8 listopada 2017 r. lek Emcitate uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierocego można znaleźć na [stronie internetowej](#) EMA.

Jak stosować lek Emcitate

Lek wydawany na receptę. Leczenie powinno być rozpoczynane i nadzorowane przez lekarza z doświadczeniem w leczeniu pacjentów z rzadkimi zaburzeniami genetycznymi.

Lek jest dostępny w postaci tabletek rozpuszczalnych, które należy przyjmować od 1 do 3 razy na dobę. Tabletki należy rozpuścić (wymieszać) w niewielkiej ilości wody, a następnie podawać za pomocą strzykawki do ust lub przez zgłębnik żołądkowo-jelitowy. Wielkość dawki początkowej zależy od masy ciała pacjenta. Dawkę zwiększa się stopniowo co dwa tygodnie do momentu, gdy stężenie hormonu tarczycy – trijodotyroniny (T3) we krwi zostanie wystarczająco obniżone.

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



Więcej informacji o sposobie stosowania leku Emcitate znajduje się w Ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

Jak działa lek Emcitate

Tyreotoksykoza w przypadku niedoboru MCT8 jest spowodowana mutacją (zmianą) w genie, który dostarcza instrukcji do wytwarzania białka o nazwie MCT8. Białko to przenosi zwykle hormon tarczycy T3 do komórek różnych tkanek i narządów, w tym tkanek mózgu. Z powodu mutacji genowej MCT8 nie działa prawidłowo i dlatego T3 nie może przedostać się do komórek mózgu, powodując zaburzenia rozwoju mózgu i mięśni. Prowadzi to również do gromadzenia się T3 w innych częściach organizmu, co wywołuje zaburzenia z powodu nadmiernej ilości hormonu tarczycy (nadczynność tarczycy).

Substancja czynna leku Emcitate, tyratrykol, jest bardzo podobna do hormonu T3, ale nie potrzebuje MCT8 do wnikania do wnętrza komórek i wydostawania się z nich z powrotem. W związku z tym należy się spodziewać, że u pacjentów z niedoborem MCT8 lek przedostanie się do komórek organizmu i zastąpi brakujący hormon T3. Pomaga to przywrócić prawidłową czynność hormonów tarczycy w organizmie i złagodzić objawy tyreotoksykozy obwodowej.

Korzyści ze stosowania leku Emcitate wykazane w badaniach

W badaniu głównym z udziałem 46 dzieci i osób dorosłych z niedoborem MCT8, który powoduje wystąpienie objawów choroby, stwierdzono, że stosowanie leku Emcitate zmniejszało średnie stężenie hormonu T3 we krwi z 4,97 nmol/l do 1,82 nmol/l po 12 miesiącach leczenia. Dane pomocnicze wykazały również niewielkie złagodzenie objawów tyreotoksykozy, takich jak przyspieszenie akcji serca, wysokie ciśnienie krwi i przedwczesne skurcze przedsionków (dodatkowe uderzenia serca). W badaniu tym leku Emcitate nie porównywano z żadnym innym lekiem ani z placebo (leczeniem pozorowanym).

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Emcitate

Pełny wykaz działań niepożądanych i ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Emcitate znajduje się w Ulotce dla pacjenta.

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Emcitate (mogące wystąpić u 1 na 10 pacjentów) to: nadmierna potliwość, biegunka, drażliwość, lęk i koszmary nocne. Te działania niepożądane występują zazwyczaj na początku leczenia lub po zwiększeniu dawki i zwykle ustępują w ciągu kilku dni.

Leku Emcitate nie wolno stosować w leczeniu innych przyczyn nadczynności tarczycy. Leku nie wolno także stosować w okresie ciąży.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Emcitate w UE

W momencie dopuszczenia do obrotu w UE nie było dopuszczonego do obrotu żadnego rodzaju leczenia tyreotoksykozy obwodowej wywołanej niedoborem MCT8, który jest bardzo rzadką i poważną chorobą. W badaniu z udziałem pacjentów z niedoborem MCT8 wykazano, że lek Emcitate obniża średnie stężenie hormonu tarczycy T3 i prowadzi do niewielkiego złagodzenia objawów tyreotoksykozy obwodowej. Bezpieczeństwo stosowania leku Emcitate jest porównywalne z bezpieczeństwem stosowania leku referencyjnego i uznaje się je za dopuszczalne przy odpowiednim dawkowaniu i monitorowaniu.

W związku z tym Agencja była zdania, że korzyści płynące ze stosowania leku Emcitate przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Emcitate

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Emcitate w Charakterystyce Produktu Leczniczego i w Ulotce dla pacjenta zawarto zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Emcitate są stale monitorowane. Podejrzewane działania niepożądane leku Emcitate są starannie oceniane i podejmowane są wszelkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Emcitate

Dalsze informacje dotyczące leku Emcitate znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/emcitate.

Data ostatniej aktualizacji: 01.2025.