



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Emcitate (*tiratricol*)

Um resumo sobre Emcitate e por que está autorizado na UE

O que é Emcitate e para que é utilizado?

Emcitate é um medicamento utilizado para o tratamento da tirotoxicose periférica (excesso de níveis sanguíneos de certas hormonas tiroideias) em pessoas com deficiência do transportador monocarboxilado 8 (MCT8). A deficiência de MCT8 é também conhecida como síndrome de Allan-Hernon-Dudley, uma doença que afeta o desenvolvimento cerebral.

Emcitate contém a substância ativa tiratricol e é um medicamento híbrido, o que significa que é similar a um medicamento de referência que contém a mesma substância ativa, mas existem certas diferenças entre os dois. Emcitate está disponível na forma de comprimidos dispersíveis (a misturar com água antes de ser tomado), ao passo que o medicamento de referência estava disponível na forma de comprimidos a tomar por via oral. O medicamento de referência para o Emcitate é o Téatrois, que foi comercializado em França para o tratamento da síndrome de resistência às hormonas tiroideia.

A deficiência de MCT8 é uma doença rara, e o Emcitate foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) a 8 de novembro de 2017. Mais informações sobre a designação de medicamento órfão podem ser encontradas no [sítio Web](#) da EMA.

Como se utiliza Emcitate?

Emcitate só pode ser obtido mediante receita médica e o tratamento deve ser iniciado e supervisionado por um médico com experiência no tratamento de doentes com doenças genéticas raras.

O medicamento está disponível na forma de comprimidos dispersíveis a tomar 1 a 3 vezes por dia. Os comprimidos devem ser dispersos (misturados) numa pequena quantidade de água e, em seguida, administrados por seringa na boca ou através de um tubo de alimentação. A dose inicial depende do peso corporal do doente. A dose é aumentada gradualmente de duas em duas semanas até que os níveis sanguíneos da hormona tiroideia tri-iodotironina (T3) sejam suficientemente reduzidos.

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



Para mais informações sobre a utilização de Emcitate, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

Como funciona Emcitate?

A tirotoxicose na deficiência de MCT8 é causada por uma mutação (alteração) do gene que fornece instruções para a elaboração de uma proteína denominada MCT8. Esta proteína transporta normalmente a hormona tiroideia T3 para células de vários tecidos e órgãos, incluindo as do cérebro. Devido à mutação genética, a MCT8 não funciona adequadamente e, por conseguinte, a T3 não consegue entrar nas células cerebrais, causando problemas no desenvolvimento cerebral e muscular. Conduz também à acumulação de T3 noutras partes do corpo, causando problemas devido ao excesso de hormona tiroideia (hipertiroidismo). A substância ativa de Emcitate, o tiratricol, é muito semelhante à T3, mas não necessita da MCT8 para se mover para dentro e para fora das células. Por conseguinte, espera-se que o medicamento entre nas células do organismo em doentes com deficiência de MCT8 e substitua a hormona T3 em falta. Isto ajuda a restaurar a atividade normal da hormona tiroideia no organismo e a reduzir os sintomas da tirotoxicose periférica.

Quais os benefícios demonstrados por Emcitate durante os estudos?

Um estudo principal que incluiu 46 crianças e adultos com deficiência de MCT8 que causa sintomas da doença concluiu que o tratamento com Emcitate reduziu o nível médio de T3 no sangue de 4,97 nmol/l para 1,82 nmol/l após 12 meses de tratamento. Os dados de suporte também demonstraram pequenas melhorias nos sinais de tirotoxicose, tais como aumento da frequência cardíaca, tensão arterial elevada e contrações auriculares prematuras (batimentos cardíacos adicionais). No estudo, Emcitate não foi comparado com outro medicamento nem com um placebo (tratamento simulado).

Quais são os riscos associados a Emcitate?

Para a lista completa dos efeitos secundários e das restrições de utilização de Emcitate, consulte o Folheto Informativo.

Os efeitos secundários mais frequentes associados a Emcitate (que podem afetar 1 em cada 10 pessoas) incluem hiperidrose (sudação excessiva), diarreia, irritabilidade, ansiedade e pesadelos. Estes efeitos secundários ocorrem geralmente no início do tratamento, ou quando a dose é aumentada, e tendem a melhorar dentro de alguns dias.

Emcitate é contra-indicado no tratamento de outras causas de hipertiroidismo. É também contra-indicado durante a gravidez.

Por que está Emcitate autorizado na UE?

No momento da aprovação, não existia nenhum tratamento autorizado na UE para a tirotoxicose periférica causada pela deficiência de MCT8, que é uma doença muito rara e grave. Um estudo que incluiu doentes com deficiência de MCT8 demonstrou que o Emcitate reduz os níveis médios da hormona tiroideia T3 e conduz a pequenas melhorias nos sinais de tirotoxicose periférica. A segurança de Emcitate é comparável à do medicamento de referência e é considerada aceitável com dosagem e monitorização adequadas.

Por conseguinte, a Agência considerou que os benefícios de Emcitate são superiores aos seus riscos e o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Emcitate?

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Emcitate.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Emcitate são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Emcitate são cuidadosamente avaliados e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger os doentes.

Outras informações sobre Emcitate

Estão disponíveis mais informações sobre o medicamento no sítio Web da Agência:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/emcitate.

Este resumo foi atualizado pela última vez em 01-2025.