



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Emcitate (*tiratricol*)

Prezentare generală a Emcitate și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Emcitate și pentru ce se utilizează?

Emcitate este un medicament utilizat pentru tratamentul tireotoxicozei periferice (concentrații excesive în sânge ale anumitor hormoni tiroidieni) la persoanele cu deficit de transportor monocarboxilat 8 (MCT8). Deficitul de MCT8 este numit Allan-Herndon-Dudley, o tulburare care afectează dezvoltarea creierului.

Emcitate conține substanța activă tiratricol și este un medicament hibrid. Acest lucru înseamnă că este similar cu un „medicament de referință” care conține aceeași substanță activă, dar există anumite diferențe între cele două. Emcitate este disponibil sub formă de comprimate dispersabile (care se amestecă cu apă înainte de administrare), în timp ce medicamentul de referință era disponibil sub formă de comprimate cu administrare orală. Medicamentul de referință pentru Emcitate este Téoatrois, care a fost introdus pe piață în Franța pentru tratamentul sindromului de rezistență la hormoni tiroidieni.

Deficitul de MCT8 este rar, iar Emcitate a fost desemnat „medicament orfan” (medicament utilizat în boli rare) la 8 noiembrie 2017. Mai multe informații despre medicamentele desemnate orfane se pot găsi pe [site-ul](https://www.ema.europa.eu/en/medicines/orphan) EMA.

Cum se utilizează Emcitate?

Emcitate se poate obține numai pe bază de prescripție medicală, iar tratamentul trebuie inițiat și supravegheat de un medic cu experiență în abordarea terapeutică a pacienților cu tulburări genetice rare.

Medicamentul este disponibil sub formă de comprimate dispersabile care se iau de 1 până la 3 ori pe zi. Comprimatele trebuie dispersate (amestecate) într-o cantitate mică de apă și apoi administrate cu o seringă în gură sau printr-o sondă de alimentare. Doza inițială depinde de greutatea pacientului. Doza se mărește treptat o dată la două săptămâni până când concentrațiile hormonului tiroidian triiodotironină (T3) în sânge sunt reduse suficient.

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](https://www.ema.europa.eu/en/how-to-find-us)

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

An agency of the European Union



Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Emcitate, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

Cum acționează Emcitate?

Tireotxicoza cu deficit de MCT8 este cauzată de o mutație (modificare) a genei care furnizează instrucțiuni pentru producerea unei proteine numite MCT8. În mod normal, această proteină transportă hormonul tiroidian T3 în celulele din diferite țesuturi și organe, inclusiv în celulele creierului. Din cauza mutației genice, MCT8 nu acționează corespunzător și, prin urmare, T3 nu poate pătrunde în celulele creierului, cauzând probleme în dezvoltarea creierului și a mușchilor. De asemenea, duce la acumularea de T3 în alte părți ale organismului, cauzând probleme din cauza excesului de hormon tiroidian (hipertiroidism). Substanța activă din Emcitate, tiratricolul, este foarte similară cu T3, dar nu are nevoie de MCT8 pentru a se deplasa în celule și în afara lor. Se preconizează așadar că medicamentul pătrunde în celulele organismului la pacienții cu deficit de MCT8 și înlocuiește hormonul T3 /care lipsește/lipsă. Acest lucru contribuie la restabilirea activității normale a hormonilor tiroidieni în organism și la reducerea simptomelor tireotxicozei periferice.

Ce beneficii a prezentat Emcitate pe parcursul studiilor?

Un studiu principal care a cuprins 46 de copii și adulți cu deficit de MCT8 care cauzează simptome de boală a constatat că tratamentul cu Emcitate reduce nivelul mediu de T3 din sânge de la 4,97 nmol/l la 1,82 nmol/l, după 12 luni de tratament. De asemenea, datele de susținere au indicat o ușoară ameliorare a semnelor de tireotxicoză, cum ar fi creșterea frecvenței cardiace, tensiune arterială mare și contracții atriale premature (bătăi cardiace suplimentare). În cadrul studiului, Emcitate nu a fost comparat cu alt medicament sau cu placebo (un preparat inactiv).

Care sunt riscurile asociate cu Emcitate?

Pentru lista completă a reacțiilor adverse și a restricțiilor asociate cu Emcitate, citiți prospectul.

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Emcitate (care pot afecta cel mult 1 persoană din 10) sunt hiperhidroză (transpirație excesivă), diaree, iritabilitate, anxietate și coșmaruri. Aceste reacții adverse apar, de obicei, la începutul tratamentului sau când se mărește doza și tind să se atenueze în câteva zile.

Emcitate este contraindicat în tratamentul altor cauze ale hipertiroidismului. De asemenea, este contraindicat în timpul sarcinii.

De ce a fost autorizat Emcitate în UE?

La momentul aprobării, nu exista niciun tratament autorizat în UE pentru tireotxicoza periferică cauzată de deficitul de MCT8, care este o afecțiune foarte rară și gravă. Un studiu care a cuprins pacienți cu deficit de MCT8 a arătat că Emcitate reduce nivelurile medii ale hormonului tiroidian T3 și determină mici îmbunătățiri ale semnelor de tireotxicoză periferică. Siguranța Emcitate este comparabilă cu cea a medicamentului de referință și este considerată acceptabilă în condiții de dozare și monitorizare adecvate.

Prin urmare, agenția a considerat că beneficiile Emcitate sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Emcitate?

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Emcitate, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Emcitate sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse suspectate raportate pentru Emcitate sunt evaluate cu atenție și sunt luate toate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Emcitate

Mai multe informații despre Emcitate se pot găsi pe site-ul agenției:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/emcitate.

Această prezentare generală a fost actualizată ultima dată în 01-2025.