



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Emcitate (*tiratrikol*)

Prehľad o lieku Emcitate a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Emcitate a na čo sa používa?

Emcitate je liek, ktorý sa používa na liečbu periférnej tyreotoxikózy (nadmernej hladiny určitých hormónov štítnej žľazy v krvi) u osôb s nedostatkom monokarboxylátového transportéra 8 (MCT8). Nedostatok MCT8 je známy aj ako Allan-Herndon-Dudleyho syndróm, čo je porucha ovplyvňujúca vývoj mozgu.

Liek Emcitate obsahuje liečivo tiratrikol a je to hybridný liek. To znamená, že je podobný tzv. referenčnému lieku obsahujúcemu rovnaké liečivo, ale medzi týmito dvoma liekmi existujú určité rozdiely. Liek Emcitate je dostupný vo forme dispergovateľných tabliet (ktoré sa majú pred užívaním zmiešať s vodou), zatiaľ čo referenčný liek bol dostupný vo forme tabliet, ktoré sa užívali ústami. Referenčným liekom pre liek Emcitate je liek Téatrois, ktorý bol vo Francúzsku uvedený na trh na liečbu syndrómu rezistencie na hormóny štítnej žľazy.

Nedostatok MCT8 je zriedkavé ochorenie, a preto bol liek Emcitate 8. novembra 2017 označený za tzv. liek na zriedkavé choroby. Viac informácií o označovaní liekov ako lieky na zriedkavé choroby sa nachádza na [webovej stránke](#) agentúry EMA.

Ako sa liek Emcitate užíva?

Výdaj lieku Emcitate je viazaný na lekársky predpis a liečbu má začať a sledovať lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou pacientov so zriedkavými genetickými poruchami.

Liek je dostupný vo forme dispergovateľných tabliet, ktoré sa užívajú jeden až trikrát denne. Tablety sa majú rozpustiť (zamiešať) v malom množstve vody, a potom podať striekačkou do úst alebo cez výživovú sondu. Začiatková dávka závisí od telesnej hmotnosti pacienta. Dávka sa každé dva týždne postupne zvyšuje, kým sa hladina hormónu štítnej žľazy trijódtyronínu (T3) v krvi dostatočne nezniží.

Viac informácií o užívaní lieku Emcitate si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárnika.

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



Akým spôsobom liek Emcitate účinkuje?

Tyreotoxikóza pri nedostatku MCT8 je spôsobená mutáciou (zmenou) génu, ktorý dáva pokyny na vytváranie proteínu nazývaného MCT8. Tento proteín zvyčajne prenáša hormón štítnej žľazy T3 do buniek rôznych tkanív a orgánov vrátane mozgových buniek. V dôsledku génovej mutácie MCT8 nefunguje správne, a preto T3 nemôže preniknúť do mozgových buniek, čo spôsobuje problémy s vývojom mozgu a svalov. Vedie to tiež k hromadeniu T3 v iných častiach tela, čo spôsobuje problémy v dôsledku príliš veľkého množstva hormónu štítnej žľazy (hypertyreóza). Liečivo lieku Emcitate, tiratrikol, je veľmi podobné hormónu T3, ale na to, aby prenikol do buniek a odchádzal z nich, nepotrebuje MCT8. Preto sa očakáva, že u pacientov s nedostatkom MCT8 liek prenikne do buniek tela a nahradí chýbajúci hormón T3. To pomáha obnoviť normálnu činnosť hormónu štítnej žľazy v tele a zmierniť príznaky periférnej tyreotoxikózy.

Aké prínosy lieku Emcitate boli preukázané v štúdiách?

V hlavnej štúdii, na ktorej sa zúčastnilo 46 detí a dospelých s nedostatkom MCT8, ktorý vyvoláva príznaky ochorenia, sa zistilo, že po 12 mesiacoch liečby liek Emcitate znížil priemernú hladinu T3 v krvi zo 4,97 nmol/l na 1,82 nmol/l. Na základe podporných údajov sa takisto preukázalo malé zlepšenie známkov tyreotoxikózy, ako je zvýšená srdcová frekvencia, vysoký krvný tlak a predčasné šľahy predsiení (mimoriadne úder srdca). V štúdii sa liek Emcitate neporovnával s iným liekom alebo placebom (zdanlivým liekom).

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Emcitate?

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Emcitate a zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Emcitate (ktoré môžu postihnúť až 1 osobu z 10) sú hyperhidróza (nadmerné potenie), hnačka, podráždenosť, úzkosť a nočné mory. Tieto vedľajšie účinky sa zvyčajne objavujú na začiatku liečby alebo v prípade zvýšenia dávky a v priebehu niekoľkých dní sa obvykle zmiernia.

Liek Emcitate sa nesmie používať na liečbu iných príčin hypertyreózy. Nesmie sa užívať ani počas tehotenstva.

Prečo bol liek Emcitate povolený v EÚ?

V čase schválenia lieku neexistovala v EÚ žiadna povolená liečba periférnej tyreotoxikózy zapríčinennej nedostatkom MCT8, čo je veľmi zriedkavé a závažné ochorenie. V štúdii, na ktorej sa zúčastnili pacienti s nedostatkom MCT8, sa preukázalo, že liek Emcitate znižuje priemernú hladinu hormónu štítnej žľazy T3 a vedie k miernemu zlepšeniu známkov periférnej tyreotoxikózy. Bezpečnosť lieku Emcitate je porovnateľná s bezpečnosťou referenčného lieku a pri vhodnom dávkovaní a monitorovaní sa považuje za prijateľnú.

Agentúra preto zastávala názor, že prínosy lieku Emcitate sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a že liek môže byť povolený na používanie v EÚ.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné užívanie lieku Emcitate?

Na bezpečné a účinné užívanie lieku Emcitate boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Emcitate sa neustále kontrolujú. Podozrenia na vedľajšie účinky hlásené pri lieku Emcitate sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Emcitate

Ďalšie informácie o lieku Emcitate sa nachádzajú na webovej stránke agentúry:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/emcitate.

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 01-2025