



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Emcitate (*tiratrikol*)

Pregled zdravila Emcitate in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Emcitate in za kaj se uporablja?

Emcitate je zdravilo, ki se uporablja za zdravljenje periferne tirotoksikoze (previsokih ravni določenih ščitničnih hormonov v krvi) pri ljudeh s pomanjkanjem monokarboksilatnega prenašalca 8 (MCT8). Pomanjkanje MCT8 je znano tudi kot sindrom Allan-Herndon-Dudley, tj. motnja, ki vpliva na razvoj možganov.

Zdravilo Emcitate vsebuje učinkovino tiratrikol in je hibridno zdravilo. To pomeni, da je podobno „referenčnemu zdravilu“, ki vsebuje enako učinkovino, vendar med njima obstajajo določene razlike. Zdravilo Emcitate je na voljo v obliki disperzibilnih tablet (ki jih je treba pred jemanjem zmešati z vodo), medtem ko je bilo referenčno zdravilo na voljo v obliki tablet za peroralno uporabo. Referenčno zdravilo za zdravilo Emcitate je zdravilo Téatrois, ki se je tržilo v Franciji za zdravljenje sindroma odpornosti proti ščitničnim hormonom.

Pomanjkanje MCT8 je redka bolezen, zato je bilo zdravilo Emcitate 8. novembra 2017 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni). Nadaljnje informacije o zdravilih sirotah so na voljo na [spletni strani](#) agencije EMA.

Kako se zdravilo Emcitate uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila Emcitate je le na recept, zdravljenje z njim pa mora uvesti in nadzorovati zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem bolnikov z redkimi genetskimi boleznimi.

Zdravilo je na voljo v obliki disperzibilnih tablet, ki se jemljejo enkrat do trikrat na dan. Tablete je treba dispergirati (zmešati) v majhni količini vode, nato pa jih z brizgo dati v usta ali skozi cevko za hranjenje. Začetni odmerek je odvisen od bolnikove telesne mase. Odmerek se povečuje postopoma vsaka dva tedna, dokler se ravni ščitničnega hormona trijodotironina (T3) v krvi ne znižajo zadostno.

Za več informacij glede uporabe zdravila Emcitate glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

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



Kako zdravilo Emcitate deluje?

Tirotoksikozo pri pomanjkanju MCT8 povzroča mutacija (sprememba) gena, ki daje navodila za tvorbo beljakovine, imenovane MCT8. Ta beljakovina običajno prenaša ščitnični hormon T3 v celice različnih tkiv in organov, vključno z možgani. Beljakovina MCT8 zaradi genske mutacije ne deluje pravilno, zato T3 ne more vstopiti v možganske celice, kar povzroča težave z razvojem možganov in mišic. Prav tako vodi do kopičenja T3 v drugih delih telesa, kar povzroča težave zaradi previsokih ravni ščitničnega hormona (hipertiroidizma). Učinkovina v zdravilu Emcitate, tiratrikol, je zelo podobna hormonu T3, vendar za premik v celice in iz njih ne potrebuje beljakovine MCT8. Zdravilo naj bi torej pri bolnikih s pomanjkanjem beljakovine MCT8 vstopilo v telesne celice in nadomestilo manjkajoči hormon T3. To pomaga obnoviti normalno delovanje ščitničnega hormona v telesu in zmanjša simptome periferne tirotoksikoze.

Kakšne koristi zdravila Emcitate so se pokazale v študijah?

V glavni študiji, v katero je bilo vključenih 46 otrok in odraslih s pomanjkanjem beljakovine MCT8, ki povzroča simptome bolezni, je bilo ugotovljeno, da se je z zdravljenjem z zdravilom Emcitate povprečna raven hormona T3 v krvi po 12 mesecih zdravljenja znižala s 4,97 nmol/l na 1,82 nmol/l. Podporni podatki so pokazali tudi manjše izboljšanje znakov tirotoksikoze, kot so povišan srčni utrip, visok krvni tlak in prezgodnje krčenje preddvorov (dodatni srčni utripi). V študiji zdravila Emcitate niso primerjali z drugim zdravilom ali placebom (zdravilom brez učinkovine).

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Emcitate?

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Emcitate glejte navodilo za uporabo.

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Emcitate (ki se lahko pojavijo pri največ 1 od 10 bolnikov) so hiperhidroza (prekomerno potenje), driska, razdražljivost, tesnoba in nočne more. Ti neželeni učinki se običajno pojavijo na začetku zdravljenja ali ob povečanju odmerka in običajno izzvenijo v nekaj dneh.

Zdravilo Emcitate se ne sme uporabljati za zdravljenje drugih vzrokov hipertiroidizma. Prav tako se ne sme jemati med nosečnostjo.

Zakaj je bilo zdravilo Emcitate odobreno v EU?

V času odobritve zdravila v EU ni bilo odobrenega zdravila za zdravljenje periferne tirotoksikoze, ki jo povzroča pomanjkanje beljakovine MCT8, kar je zelo redka in resna bolezen. Študija, v katero so bili vključeni bolniki s pomanjkanjem te beljakovine, je pokazala, da zdravilo Emcitate znižuje povprečne ravni ščitničnega hormona T3 in povzroča manjše izboljšanje znakov periferne tirotoksikoze. Varnost zdravila Emcitate je primerljiva z varnostjo referenčnega zdravila in z ustreznim odmerjanjem in spremljanjem velja za sprejemljivo.

Agencija je zato menila, da so koristi zdravila Emcitate večje od z njim povezanih tveganj in da se lahko odobri za uporabo v EU.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Emcitate?

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Emcitate upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Emcitate stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Emcitate, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Emcitate

Nadaljnje informacije za zdravilo Emcitate so na voljo na spletni strani agencije:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/emcitate.

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 01-2025.