



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Emcitate (*tiratrikol*)

Sammanfattning av Emcitate och varför det är godkänt inom EU

Vad är Emcitate och vad används det för?

Emcitate är ett läkemedel som används för att behandla perifer tyreotoxikos (överskott av vissa sköldkörtelhormoner i blodet) hos personer med brist på monokarboxylattransportör 8 (MCT8). Ett annat namn på MCT8-brist är Allan-Hernon-Dudley-syndrom, och sjukdomen påverkar hjärnans utveckling.

Emcitate innehåller den aktiva substansen tiratrikol och är ett hybridläkemedel. Det innebär att det liknar ett "referensläkemedel" som innehåller samma aktiva substans, men att det finns vissa skillnader mellan dem. Emcitate finns som dispergerbara tabletter (som ska blandas med vatten innan det tas), medan referensläkemedlet fanns som tabletter som skulle tas genom munnen. Referensläkemedlet för Emcitate är Téatrois, som marknadsfördes i Frankrike för behandling av sköldkörtelhormonresistens.

MCT8-brist är sällsynt och Emcitate klassificerades som sär läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 8 november 2017. Mer information om klassificeringen som sär läkemedel finns på EMA:s [webbplats](https://www.ema.europa.eu/webbplats).

Hur används Emcitate?

Emcitate är receptbelagt och behandling ska inledas och övervakas av en läkare med erfarenhet av att behandla patienter med sällsynta genetiska sjukdomar.

Läkemedlet finns som dispergerbara tabletter som ska tas 1–3 gånger om dagen. Tabletterna ska lösas upp (blandas) i en liten mängd vatten och sedan ges genom spruta i munnen eller genom en matningssond. Startdosen beror på patientens kroppsvikt. Dosen ökas gradvis varannan vecka tills nivåerna av sköldkörtelhormonet trijodtyronin (T3) i blodet har sjunkit tillräckligt.

För mer information om hur du använder Emcitate, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

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



Hur verkar Emcitate?

Vid MCT8-brist orsakas tyreotoxikos av en mutation (förändring) i genen som ger instruktioner för att bilda proteinet MCT8. Detta protein transporterar normalt sköldkörtelhormonet T3 till celler i olika vävnader och organ, inklusive hjärnans celler. På grund av genmutationen fungerar inte MCT8 som det ska, vilket medför att T3 inte kan ta sig in i hjärncellerna. Detta orsakar problem med hjärn- och muskelutvecklingen. Det leder också till en ansamling av T3 i andra delar av kroppen, vilket orsakar problem på grund av överskott av sköldkörtelhormon (hypertyreos). Den aktiva substansen i Emcitate, tiratrikol, är mycket lik T3 men behöver inte MCT8 för att ta sig in i eller ut ur celler. Läkemedlet förväntas därför tränga in i kroppens celler hos patienter med MCT8-brist och ersätta det saknade T3-hormonet. Detta hjälper till att återställa normal sköldkörtelhormonaktivitet i kroppen och minska symtomen på perifer tyreotoxikos.

Vilka fördelar med Emcitate har visats i studierna?

En huvudstudie på 46 barn och vuxna med MCT8-brist som orsakar sjukdomssymtom visade att behandling med Emcitate minskar den genomsnittliga T3-nivån i blodet från 4,97 nmol/l till 1,82 nmol/l efter 12 månaders behandling. Stödjande data visade också små förbättringar av tecken på tyreotoxikos såsom ökad hjärtfrekvens, högt blodtryck och för tidiga förmakskontraktioner (extra hjärtslag). I studien jämfördes inte Emcitate med något annat läkemedel eller placebo (överksam behandling).

Vilka är riskerna med Emcitate?

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Emcitate finns i bipacksedeln.

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Emcitate (kan förekomma hos upp till 1 av 10 användare) är hyperhidros (kraftig svettning), diarré, irritabilitet, ångest och mardrömmar. Dessa biverkningar uppträder vanligtvis i början av behandlingen, eller när dosen ökas, och brukar bli bättre inom några dagar.

Emcitate får inte användas för att behandla andra orsaker till hypertyreos. Det får inte heller användas under graviditet.

Varför är Emcitate godkänt i EU?

Vid tidpunkten för godkännandet fanns det ingen godkänd behandling i EU mot perifer tyreotoxikos orsakad av MCT8-brist, som är ett mycket sällsynt och allvarligt tillstånd. En studie på patienter med MCT8-brist har visat att Emcitate sänker de genomsnittliga nivåerna av sköldkörtelhormonet T3 och leder till vissa mindre förbättringar avseende tecken på perifer tyreotoxikos. Emcitates säkerhet är jämförbar med referensläkemedlets och anses godtagbar vid lämplig dosering och övervakning.

EMA fann därför att fördelarna med Emcitate är större än riskerna och att Emcitate kan godkännas för försäljning i EU.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Emcitate?

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Emcitate har tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Emcitate kontinuerligt. Misstänkta biverkningar som har rapporterats för Emcitate utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

Mer information om Emcitate

Mer information om Emcitate finns på EMA:s webbplats:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/emcitate.

Denna sammanfattning uppdaterades senast 01-2025.