



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

17. března 2026
EMA/H/C/003870/II/0040

Zamítnutí změny registrace přípravku Hetlioz (tasimelteon)

Přezkoumání potvrdilo zamítnutí

Evropská agentura pro léčivé přípravky potvrdila své doporučení zamítnout změnu registrace přípravku Hetlioz. Změna se týkala rozšíření indikace o léčbu poruchy nočního spánku u dospělých se syndromem Smithové-Magenisové.

Agentura vydala své stanovisko po přezkoumání dne 16. března 2026. Své původní stanovisko vydala dne 13. listopadu 2025. Žádost o změnu registrace léčivého přípravku podala společnost Vanda Pharmaceuticals Netherlands B.V.

Co je přípravek Hetlioz a k čemu se používá?

Hetlioz je léčivý přípravek používaný k léčbě poruchy 24hodinového cyklu spánku a bdění u dospělých s úplnou ztrátou zraku. Porucha 24hodinového cyklu spánku a bdění je stav, ke kterému dochází téměř výhradně u lidí s úplnou ztrátou zraku. Pacienti mají spánkový cyklus, který neodpovídá střídání dne a noci a často je delší než běžný 24hodinový cyklus. V důsledku toho pacienti usínají a probouzejí se v neobvyklou dobu.

Přípravek Hetlioz obsahuje léčivou látku tasimelteon.

Další informace o použití přípravku Hetlioz naleznete na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/hetlioz.

O jakou změnu společnost žádala?

Společnost požádala o rozšíření použití přípravku Hetlioz s cílem doplnit léčbu poruchy nočního spánku u dospělých se syndromem Smithové-Magenisové. Syndrom Smithové-Magenisové je vzácné dědičné onemocnění, které se vyznačuje opožděným vývojem, problémy s chováním a poruchami spánku. Problémy se spánkem u osob se syndromem Smithové-Magenisové jsou způsobeny abnormálním vzorcem produkce melatoninu (hormonu, který hraje klíčovou úlohu při koordinaci cyklu spánku a bdění).

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



Přípravek Hetlioz byl označen dne 22. května 2023 jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“. Měl být určen k léčbě syndromu Smithové-Magenisové. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-23-2832.

Jak přípravek Hetlioz působí?

Melatonin se podílí na koordinaci spánkového cyklu organismu tím, že působí na buňky v určitých částech mozku a napomáhá usnutí. Jeho hladiny v krvi normálně vzrůstají po setmění a vrcholí uprostřed noci. Léčivá látka v přípravku Hetlioz, tasimelteon, působí na stejné receptory jako melatonin, podporuje spánek a reguluje spánkový cyklus. Při každodenním užívání ve vhodnou dobu může pomoci znovu nastavit cyklus spánku a bdění s běžnějším načasováním.

V případě syndromu Smithové-Magenisové se očekávalo, že přípravek Hetlioz bude působit stejným způsobem jako při stávajícím použití.

Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?

Společnost předložila výsledky studie, do které bylo zařazeno 26 dospělých a dětí ve věku od 3 let se syndromem Smithové-Magenisové, kteří trpěli poruchami nočního spánku. Studie porovnávala účinek přípravku Hetlioz při poruchách spánku s účinkem placeba (neúčinného přípravku) po dobu 4 týdnů. Hlavním měřítkem účinnosti bylo zlepšení nočního spánku na základě průměrné kvality spánku a průměrné celkové doby spánku, které vyhodnotili pečovatelé pomocí dotazníku po spánku.

Jaké byly hlavní důvody zamítnutí změny registrace?

V době počátečního hodnocení agentura usoudila, že existují obavy ohledně návrhu studie, statistické analýzy výsledků a způsobu provedení studie, což vedlo k nejistotám ohledně pozorovaných účinků léčby.

Agentura proto zaujala stanovisko, že přínosy přípravku Hetlioz v rámci léčby syndromu Smithové-Magenisové nelze prokázat, a doporučila změnu registrace zamítnout.

Po přezkoumání dostupných údajů pochybnosti agentury nebyly vyřešeny a původní zamítnutí bylo potvrzeno.

Jaké jsou důsledky pro použití přípravku Hetlioz k léčbě poruchy 24hodinového cyklu spánku a bdění?

Toto zamítnutí změny registrace nemá vliv na schválené použití přípravku Hetlioz u poruchy 24hodinového cyklu spánku a bdění.