



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Afslag på ansøgning om ændring af markedsføringstilladelsen for Hetlio^z (tasimelteon) Bekræftelse af afslag efter revurdering

Det Europæiske Lægemiddelagentur har bekræftet sin anbefaling om at afvise en ændring af markedsføringstilladelsen for Hetlio^z. Ændringen vedrørte en udvidelse af indikationen til også at omfatte behandling af søvnforstyrrelser om natten hos voksne med Smith-Magenis' syndrom.

Agenturet fremsatte sin udtalelse den 16. marts 2026 efter at have revurderet ansøgningen. Agenturet havde afgivet sin første udtalelse den 13. november 2025. Virksomheden, der havde ansøgt om ændring af tilladelsen for lægemidlet, er Vanda Pharmaceuticals Netherlands B.V.

Hvad er Hetlio^z, og hvad anvendes det til?

Hetlio^z er et lægemiddel til behandling af søvnforstyrrelsen Non-24-Hour Sleep-Wake Disorder hos voksne, der er totalt blinde. Sygdommen Non-24-Hour Sleep-Wake Disorder optræder næsten udelukkende hos personer, der er totalt blinde, idet patientens søvn mønster ikke er synkroniseret med dag og nat, men ofte følger en cyklus, der er længere end den normale 24-timers døgnrytme. Patienten falder derfor i søvn og vågner på usædvanlige tidspunkter.

Hetlio^z indeholder det aktive stof tasimelteon.

Yderligere information om anvendelsen af Hetlio^z findes på agenturets websted:
[ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/hetlio](https://ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/hetlio/hetlio).

Hvilken ændring havde virksomheden ansøgt om?

Virksomheden ansøgte om at udvide anvendelsen af Hetlio^z til også at omfatte behandling af søvnforstyrrelser om natten hos voksne med Smith-Magenis' syndrom. Smith-Magenis' syndrom er en sjælden arvelig lidelse kendetegnet ved udviklingsforsinkelse, adfærdsproblemer og søvnforstyrrelser. Søvnproblemer hos personer med Smith-Magenis' syndrom skyldes et unormalt produktionsmønster for melatonin (et hormon, der spiller en central rolle i koordineringen af kroppens søvn-vågencyklus).

Hetlio^z blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 22. maj 2023 mod Smith-Magenis' syndrom. Yderligere oplysninger om lægemidler til sjældne sygdomme findes på agenturets websted:
ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-23-2832.

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



Hvordan virker Hetlioz?

Melatonin spiller en rolle i koordineringen af kroppens søvncyklus ved at påvirke celler i specifikke områder af hjernen og hjælpe med at fremkalde søvn. Indholdet af melatonin i blodet stiger normalt, når mørket falder på, og toppe midt om natten. Det aktive stof i Hetlioz, tasimelteon, virker på de samme receptorer som melatonin og fremmer søvn og regulerer søvnmønstret. Når lægemidlet tages på et passende klokkeslæt hver dag, kan det medvirke til at omstille kroppens søvn-vågencyklus til et mere normalt mønster.

Ved Smith-Magenis' syndrom forventedes Hetlioz at fungere på samme måde, som det gør i sin nuværende anvendelse.

Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden i forbindelse med ansøgningen?

Virksomheden fremlagde resultaterne af et studie, der omfattede 26 voksne og børn i alderen 3 år og derover med Smith-Magenis' syndrom, som led af søvnforstyrrelser om natten. I studiet blev virkningen af Hetlioz på søvnforstyrrelser sammenlignet med virkningen af placebo (en uvirksom behandling) over 4 uger. Virkningen blev hovedsagelig bedømt på en forbedring af nattesøvnen baseret på den gennemsnitlige søvnkvalitet og den gennemsnitlige samlede søvntid, vurderet af omsorgspersoner ved hjælp af et spørgeskema efter søvn.

Hvad var hovedårsagerne til at afvise ændringen af markedsføringstilladelsen?

På tidspunktet for den oprindelige vurdering var agenturet af den opfattelse, at der var betænkeligheder med hensyn til studiets udformning, den statistiske analyse af resultaterne og den måde, hvorpå studiet var blevet gennemført, hvilket medførte usikkerhed med hensyn til de observerede behandlingsevner.

Agenturet var derfor af den opfattelse, at fordelene ved Hetlioz til behandling af Smith-Magenis' syndrom ikke kunne fastslås, og anbefalede afslag på ansøgningen om ændring af markedsføringstilladelsen.

Efter revurdering af de foreliggende data blev agenturets betænkeligheder ikke afhjulpet, og det oprindelige afslag blev bekræftet.

Hvad sker der med Hetlioz til behandling af Non-24-Hour Sleep-Wake Disorder?

Der er ingen konsekvenser for Hetlioz ved den godkendte anvendelse til Non-24-Hour Sleep-Wake Disorder.