



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

17. März 2026
EMA/H/C/003870/II/0040

Versagung einer Änderung der Genehmigung für das Inverkehrbringen von Hetlioz (Tasimelteon) Überprüfung bestätigt Versagung

Die Europäische Arzneimittel-Agentur hat die Empfehlung ihrer Versagung einer Änderung der Genehmigung für das Inverkehrbringen von Hetlioz bestätigt. Die Änderung betraf eine Indikationserweiterung auf die Behandlung von nächtlichen Schlafstörungen bei Erwachsenen mit Smith-Magenis-Syndrom.

Die Agentur verabschiedete ihr Gutachten nach der erneuten Überprüfung am 16. März 2026. Ihr ursprüngliches Gutachten hatte Sie am 13. November 2025 vorgelegt. Das Unternehmen, das die Änderung beantragt hatte, ist Vanda Pharmaceuticals Netherlands B.V.

Was ist Hetlioz und wofür wird es angewendet?

Hetlioz ist ein Arzneimittel zur Behandlung von vollständig blinden Erwachsenen mit Nicht-24-Stunden-Schlaf-Wach-Syndrom. Eine Nicht-24-Stunden-Schlaf-Wach-Störung ist eine Erkrankung, die fast ausschließlich bei völlig blinden Menschen auftritt, bei denen die Patienten Schlafmuster haben, die nicht auf Tag und Nacht abgestimmt sind und oft einem Zyklus folgen, der länger als ein normaler 24-Stunden-Tag ist. Dies führt dazu, dass die Patienten zu ungewöhnlichen Zeiten schlafen und aufwachen.

Hetlioz enthält den Wirkstoff Tasimelteon.

Weitere Informationen zu den Anwendungsgebieten von Hetlioz finden Sie auf den Internetseiten der Agentur: ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/hetlioz.

Welche Änderung hatte das Unternehmen beantragt?

Das Unternehmen hatte eine Indikationserweiterung auf die Behandlung von nächtlichen Schlafstörungen bei Erwachsenen mit Smith-Magenis-Syndrom beantragt. Das Smith-Magenis-Syndrom ist eine seltene Erbkrankheit, die durch Entwicklungsverzögerungen, Verhaltensprobleme und Schlafstörungen gekennzeichnet ist. Schlafschwierigkeiten bei Patienten mit Smith-Magenis-Syndrom werden durch ein abnormales Produktionsmuster von Melatonin verursacht (einem Hormon, das eine Schlüsselrolle bei der Koordinierung des Schlaf-Wach-Zyklus des Körpers spielt).

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



Hetlioz wurde am 22. Mai 2023 „Orphan-Arzneimittel“ (Arzneimittel für seltene Leiden) zur Behandlung des Smith-Magenis-Syndroms ausgewiesen. Weitere Informationen zu der Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden finden Sie hier: ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-23-2832.

Wie wirkt Hetlioz?

Melatonin ist an der Koordination des Schlafzyklus des Körpers beteiligt, indem es auf Zellen in bestimmten Hirnregionen wirkt und dabei hilft, den Schlaf einzuleiten. Die Konzentration dieses Hormons im Blut steigt normalerweise nach Einbruch der Dunkelheit an und erreicht ihr Maximum in der Mitte der Nacht. Der Wirkstoff in Hetlioz, Tasimelteon, wirkt an denselben Rezeptoren wie Melatonin, um den Schlaf zu fördern und Schlafmuster zu regulieren. Indem das Arzneimittel jeden Tag zu einem passenden Zeitpunkt eingenommen wird, kann es dazu beitragen, den Schlaf-Wach-Zyklus wieder auf ein normaleres Niveau zu bringen.

Es wurde erwartet, dass Hetlioz bei Smith-Magenis-Syndrom auf gleiche Weise wirkt wie bei seinem bereits bestehenden Anwendungsgebiet.

Welche Unterlagen hat das Unternehmen zur Stützung seines Antrags vorgelegt?

Das Unternehmen legte die Ergebnisse einer Studie vor, an der 26 Erwachsene und Kinder ab 3 Jahren mit Smith-Magenis-Syndrom teilgenommen hatten, die an nächtlichen Schlafstörungen litten. In der Studie wurde die Wirkung von Hetlioz bei Schlafstörungen über einen Zeitraum von vier Wochen mit der Wirkung von Placebo (einer Scheinbehandlung) verglichen. Der Hauptindikator für die Wirksamkeit war eine Verbesserung des Nachtschlafs auf der Grundlage der durchschnittlichen Schlafqualität und der durchschnittlichen Gesamtschlafzeit, die von den Betreuungspersonen mithilfe eines nach dem Schlafen zu beantwortenden Fragebogens beurteilt wurden.

Was waren die Hauptgründe für die Versagung der Änderung der Genehmigung für das Inverkehrbringen?

Zum Zeitpunkt der ersten Bewertung war die Agentur der Auffassung, dass Bedenken hinsichtlich des Studiendesigns, der statistischen Auswertung der Ergebnisse und der Durchführungsmethode der Studie bestanden, was zu Unsicherheiten bei den beobachteten Behandlungswirkungen führte.

Die Agentur war daher der Ansicht, dass der Nutzen von Hetlioz bei der Behandlung des Smith-Magenis-Syndroms nicht nachgewiesen werden konnte, und empfahl, die Änderung der Genehmigung für das Inverkehrbringen zu versagen.

Nach einer erneuten Prüfung der verfügbaren Daten konnten die Bedenken der Agentur nicht ausgeräumt werden, und die ursprüngliche Versagung wurde bestätigt.

Was geschieht mit Hetlioz für die Behandlung von Nicht-24-Stunden-Schlaf-Wach-Syndrom?

Es ergeben sich keine Konsequenzen für Hetlioz in seiner zugelassenen Anwendung bei Nicht-24-Stunden-Schlaf-Wach-Syndrom.