



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Hetlioz-valmisteen (tasimelteoni) myyntilupaa koskevan muutoshakemuksen epääminen

Epääminen on vahvistettu uudelleenarvioinnissa

Euroopan lääkevirasto on vahvistanut suosituksensa evätä Hetlioz-valmisteen myyntiluvan muutos. Muutos koski käyttöaiheen laajentamista siten, että siihen lisättäisiin Smith-Magenisin oireyhtymää sairastavien aikuisten yöaikaisen unihäiriön hoito.

Virasto antoi lausuntonsa uudelleenarvioinnin jälkeen 16. maaliskuuta 2026. Virasto oli antanut alkuperäisen lausuntonsa 13. marraskuuta 2025. Myyntiluvan muutosta hakenut yhtiö on Vanda Pharmaceuticals Netherlands B.V.

Mitä Hetlioz on ja mihin sitä käytetään?

Hetlioz on lääke, joilla hoidetaan täysin sokeiden aikuisten unen vuorokausivaihteluhäiriötä. Unen vuorokausivaihteluhäiriö on sairaus, jota esiintyy pääasiassa vain täysin sokeilla ihmisillä. Siitä kärsivien ihmisten unirytmistö ei seuraa päivän ja yön vaihtelua, vaan se noudattaa sykliä, joka on pitempi kuin tavallinen 24 tunnin sykli. Sen vuoksi potilaat nukahtavat ja heräävät epätavallisiin aikoihin.

Hetliozin vaikuttava aine on tasimelteoni.

Lisätietoja Hetliozin käytöstä on viraston verkkosivustolta osoitteessa ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/hetlioz.

Mitä muutosta yhtiö haki?

Yhtiö haki Hetliozin käyttöaiheen laajentamista yöaikaisen unihäiriön hoitoon Smith-Magenisin oireyhtymää sairastavilla aikuisilla. Smith-Magenisin oireyhtymä on harvinainen perinnöllinen sairaus, jolle ovat ominaisia kehitysviiveet, käyttäytymishäiriöt ja unihäiriöt. Smith-Magenisin oireyhtymää sairastavien potilaiden uniongelmat johtuvat melatoniinin (hormoni, jolla on keskeinen tehtävä elimistön uni- ja valverytmin säätelyssä) poikkeavasta erityysrytmistä.

Hetlioz nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 22. toukokuuta 2023 Smith-Magenisin oireyhtymän hoitoon. Lisätietoja harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on viraston verkkosivuilla: 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



Miten Hetlioz vaikuttaa?

Melatoniini osallistuu kehon unirytmien säätelyyn vaikuttamalla soluihin aivojen tietyillä alueilla ja auttaa siten nukahtamaan. Melatoniinin pitoisuus veressä yleensä lisääntyy pimeän tultua ja saavuttaa huippunsa keskiyöllä. Hetliozin vaikuttava aine, tasimelteoni, vaikuttaa samoihin reseptoreihin kuin melatoniini ja edistää siten nukkumista ja säätelee unirytmää. Kun Hetlioz otetaan sopivaan aikaan joka päivä, se voi auttaa palauttamaan uni-valverytmin normaalimmaksi.

Hetliozin odotettiin vaikuttavan Smith-Magenisin oireyhtymässä samalla tavalla kuin nykyisissä käyttöaiheissa.

Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Yhtiö esitti tulokset tutkimuksesta, johon osallistui 26 yöaikaista unihäiriötä sairastavaa aikuista ja vähintään 3-vuotiasta lasta, joilla oli Smith-Magenisin oireyhtymä. Tutkimuksessa Hetliozin vaikutusta unihäiriöihin verrattiin lumelääkkeen vaikutukseen neljän viikon ajan. Tehon pääasiallisena mittana oli yöaikaisen unen paraneminen. Se perustui keskimääräiseen unen laatuun ja keskimääräiseen kokonaisnukkumisaikaan, joita hoitajat arvioivat nukkumista koskevalla kyselylomakkeella.

Mitkä olivat tärkeimmät syyt myyntiluvan muutoksen epäämiseen?

Alustavan arvioinnin ajankohtana virasto katsoi, että tutkimusasetelmaan, tulosten tilastolliseen analyysiin ja tutkimuksen suorittamistapaan liittyi huolenaiheita, mikä aiheutti havaittuihin hoitovaikutuksiin liittyvää epävarmuutta.

Näin ollen virasto katsoi, että Hetliozin hyötyä Smith-Magenisin oireyhtymän hoidossa ei voitu osoittaa, ja suosittelee myyntiluvan muutoksen epäämistä.

Saatavilla olevien tietojen uudelleenarvioinnin jälkeen viraston huolenaiheita ei saatu ratkaistua, ja alkuperäinen hylkäävä päätös vahvistettiin.

Mitä tapahtuu Hetliozin käytölle unen vuorokausivaihteluhäiriön hoidossa?

Epäämisestä ei ole mitään seurauksia Hetliozille, joka on hyväksytty käytettäväksi unen vuorokausivaihteluhäiriön hoitoon.