



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

A Hetlioz-ra (tazimelteon) vonatkozó forgalombahozatali engedély módosításának elutasítása

A felülvizsgálat megerősíti az elutasítást

Az Európai Gyógyszerügynökség megerősítette a Hetlioz forgalombahozatali engedélye módosításának elutasítására vonatkozó ajánlását. A módosítás a javallat kiterjesztését érintette a Smith-Magenis szindrómában szenvedő felnőttek éjszakai alvászavarának kezelése érdekében.

Az Ügynökség 2026. március 16-án adta ki a felülvizsgálatot követő véleményét. Az Ügynökség az eredeti véleményét 2025. november 13-án adta ki. A gyógyszer engedélyének módosítása iránti kérelmet a Vanda Pharmaceuticals Netherlands B.V. vállalat nyújtotta be.

Milyen típusú gyógyszer a Hetlioz, és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Hetlioz „nem 24 órás alvás-ébrenlét szindrómában” szenvedő teljesen vak felnőttek kezelésére szolgál. A „nem 24 órás alvás-ébrenlét szindróma” egy olyan betegség, ami majdnem kizárólag teljesen vak embereknél jelentkezik, ahol a betegek alvási mintázata nincs szinkronban a nappalokkal és éjszakákkal és gyakran több mint 24 órás ciklust követ. Ennek következtében a betegek szokatlan időpontokban alszanak el és ébrednek fel.

A gyógyszer hatóanyagként tazimelteont tartalmaz.

A Hetlioz alkalmazásával kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/hetlioz.

Milyen módosítás iránti kérelmet nyújtott be a vállalat?

A vállalat a Hetlioz alkalmazásának kiterjesztését kérelmezte a Smith-Magenis szindrómában szenvedő felnőttek éjszakai alvászavarának kezelésére. A Smith-Magenis szindróma egy ritka, örökletes betegség, amelyet fejlődési késedelem, viselkedési problémák és alvászavar jellemez. A Smith-Magenis szindrómában szenvedő betegeknél az alvászavart a melatonin rendellenes termelési mintázata okozza (ez egy hormon, amely kulcsszerepet játszik az emberi test alvás-ébrenlét ciklusának összehangolásában).

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



A Hetlioz-t 2023. május 22-én a Smith-Magenis szindróma kezelése tekintetében „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. A ritka betegség elleni gyógyszerre minősítésről további információ az Ügynökség honlapján található: ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-23-2832.

Hogyan fejti ki hatását a Hetlioz?

A melatonin a szervezet alvásciklusának szabályzásában vesz részt azért, hogy az agy speciális területein található sejtekre hat és segíti az elalvást. Vérszintje normál esetben sötétedés kezdetekor növekszik és az éjszaka közepén éri el a csúcspontját. A Hetlioz hatóanyaga, a tazimelton ugyanazeken a receptorokon hat és ezzel segíti az elalvást és szabályozza a beteg alvási mintázatát. Minden nap egy alkalmas időpontban bevéve elősegítheti a alvás-ébrenlét ciklus megfelelő időzítését.

A Smith-Magenis szindróma esetében azt várták, hogy a Hetlioz ugyanúgy fejti ki hatását, mint a már létező alkalmazásakor.

Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?

A vállalat egy olyan vizsgálat eredményeit mutatta be, amelyben 26, Smith-Magenis szindrómában szenvedő felnőtt és 3 évesnél idősebb gyermek vett részt, akik éjszakai alvászavarban szenvedtek. A vizsgálatban a Hetlioz alvászavarra gyakorolt hatását placebo (hatóanyag nélküli kezelés) hatásával hasonlították össze 4 hét alatt. A hatásosság fő mutatója az éjszakai alvás javulása volt az átlagos alvásminőségen és az átlagos teljes alvásidőn keresztül, amelyet a gondozók az alvást követő kérdőív segítségével értékelték.

Melyek voltak a fő okai a forgalombahozatali engedély módosítása elutasításának?

A kezdeti értékelés idején az Ügynökség úgy vélte, hogy aggályok merültek fel a vizsgálat kialakításával, az eredmények statisztikai elemzésével és a vizsgálat elvégzésének módjával kapcsolatban, ami bizonytalanságokat eredményezett a megfigyelt terápiás hatásokban.

Ezért az Ügynökség azon a véleményen volt, hogy a Hetlioz előnyei a Smith-Magenis szindróma kezelésében nem igazolhatók, és az Ügynökség a forgalombahozatali engedély módosításának elutasítását javasolta.

A rendelkezésre álló adatok felülvizsgálatát követően az Ügynökség aggályai még mindig fennálltak, és az eredeti elutasítást megerősítették.

Mi történik a Hetlioz-zal a „nem 24 órás alvás-ébrenlét szindróma” kezelése vonatkozásában?

A „nem 24 órás alvás-ébrenlét szindróma” kezelésére engedélyezett Hetlioz-ra nézve nincsenek következmények.