



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

17 martie 2026
EMA/H/C/003870/II/0040

Refuzul modificării autorizației de punere pe piață pentru Hetlioz (tasimelteon)

Reexaminarea confirmă refuzul

Agenția Europeană pentru Medicamente a confirmat recomandarea de refuz al modificării autorizației de punere pe piață pentru medicamentul Hetlioz. Modificarea consta într-o extindere a indicațiilor prin adăugarea tratamentului pentru tulburări de somn pe timpul nopții la adulții cu sindromul Smith-Magenis.

Agenția a emis avizul după reexaminarea din 16 martie 2026. Avizul inițial fusese emis la 13 noiembrie 2025. Compania care a solicitat modificarea autorizației pentru medicamentul respectiv este Vanda Pharmaceuticals Netherlands B.V.

Ce este Hetlioz și pentru ce se utilizează?

Hetlioz se utilizează pentru tratarea tulburărilor ritmului nictemeral non-24 de ore (Non-24) la adulții nevăzători care nu percep lumina. Tulburările ritmului nictemeral non-24 de ore (Non-24) reprezintă o afecțiune care apare aproape în mod exclusiv la persoanele nevăzătoare care nu percep lumina în cazul în care pacienții au un ritm al somnului care nu este sincronizat cu ciclul normal de zi și noapte și urmează deseori un ciclu mai lung decât cel standard, de 24 de ore. Prin urmare, pacienții adorm și se trezesc la ore neobișnuite.

Hetlioz conține substanța activă tasimelteon.

Informații suplimentare cu privire la utilizările Hetlioz sunt disponibile pe site-ul agenției: ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/hetlioz.

Ce modificare solicitase compania?

Compania solicitase extinderea utilizării Hetlioz pentru a adăuga tratamentul pentru tulburări de somn pe timpul nopții la adulții cu sindromul Smith-Magenis. Sindromul Smith-Magenis este o afecțiune ereditară rară, caracterizată prin întârzieri în dezvoltare, probleme comportamentale și tulburări de somn. Problemele de somn la persoanele cu sindrom Smith-Magenis sunt cauzate de un model anormal de producție de melatonină (hormon care joacă un rol esențial în coordonarea ciclului nictemeral al organismului).

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 a fost desemnat „medicament orfan” (medicament folosit în boli rare) la 22 mai 2023 pentru tratamentul sindromului Smith-Magenis. Informații suplimentare privind desemnarea ca medicament orfan sunt disponibile pe site-ul agenției: ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-23-2832.

Cum acționează Hetlioz?

Melatonina este implicată în coordonarea ciclului de somn al organismului, acționând asupra celulelor din anumite zone ale creierului și ajutând la inducerea somnului. În mod normal, nivelul de melatonină din sânge crește când se întunecă și atinge nivelul maxim în mijlocul nopții. Substanța activă din Hetlioz, tasimelteon, acționează asupra aceluiași receptor ca melatonina pentru a produce somnul și a regla ritmul somnului. Prin administrarea zilnică, la o oră potrivită, poate ajuta la reglarea ciclului nictemeral spre un program standard.

În sindromul Smith-Magenis, Hetlioz ar fi trebuit să acționeze în același mod ca în indicația existentă.

Ce documentație a prezentat compania în sprijinul cererii sale?

Compania a prezentat rezultatele unui studiu care a cuprins 26 de adulți, adolescenți și copii cu vârsta de cel puțin 3 ani cu sindrom Smith-Magenis care se confruntau cu tulburări de somn pe timpul nopții. Studiul a comparat efectul Hetlioz asupra tulburărilor somnului cu cel al placebo (preparat inactiv) timp de 4 săptămâni. Principalul indicator al eficacității a fost ameliorarea somnului pe timpul nopții pe baza calității medii a somnului și a duratei totale medii a somnului, evaluată de îngrijitori folosind un chestionar post-somn.

Care au fost principalele motive pentru refuzul modificării autorizației de punere pe piață?

La momentul evaluării inițiale, agenția a considerat că existau motive de îngrijorare cu privire la designul studiului, la analiza statistică a rezultatelor și la modul în care a fost realizat studiul, ceea ce a dus la incertitudini privind efectele observate ale tratamentului.

Prin urmare, în opinia agenției, beneficiile Hetlioz în tratamentul sindromului Smith-Magenis nu au putut fi stabilite, iar agenția a recomandat refuzul modificării autorizației de punere pe piață.

În urma reexaminării datelor disponibile, motivele de îngrijorare ale agenției nu au fost soluționate, iar refuzul inițial a fost confirmat.

Ce se va întâmpla cu Hetlioz pentru tratamentul tulburărilor ritmului nictemeral non-24 de ore (Non-24)?

Nu există consecințe pentru Hetlioz în utilizarea autorizată pentru tulburările ritmului nictemeral non-24 de ore (Non-24).