



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zamietnutie zmeny povolenia na uvedenie na trh pre liek Hetlioz (tasimelteon)

Opätovným preskúmaním sa potvrdilo zamietnutie

Európska agentúra pre lieky potvrdila svoje odporúčanie zamietnuť zmenu povolenia na uvedenie na trh pre liek Hetlioz. Zmena sa týkala rozšírenia indikácie o liečbu poruchy nočného spánku u dospelých so Smithovým-Magenisovým syndrómom.

Agentúra vydala svoje stanovisko po opätovnom preskúmaní 16. marca 2026. Svoje pôvodné stanovisko vydala 13. novembra 2025. Spoločnosť, ktorá požiadala o zmenu povolenia lieku, je Vanda Pharmaceuticals Netherlands B.V.

Čo je liek Hetlioz a na čo sa používa?

Liek Hetlioz sa používa na liečbu úplne nevidiacich dospelých s poruchou 24-hodinového rytmu spánku a bdenia (non-24). Porucha 24-hodinového rytmu spánku a bdenia (non-24) je stav, ktorý sa vyskytuje takmer výlučne u úplne nevidiacich ľudí, pričom títo pacienti majú spánkové vzorce, ktoré nie sú synchronizované s dňom a nocou a často majú cyklus, ktorý je dlhší ako štandardných 24 hodín. Výsledkom je, že pacienti zaspávajú a zobúdzajú sa v nezvyčajnom čase.

Liek Hetlioz obsahuje liečivo tasimelteon.

Viac informácií o použití lieku Hetlioz sa nachádza na webovej stránke agentúry:
ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/hetlioz.

O akú zmenu spoločnosť požiadala?

Spoločnosť požiadala o rozšírenie používania lieku Hetlioz na liečbu nočnej poruchy spánku u dospelých so Smithovým-Magenisovým syndrómom. Smithov-Magenisov syndróm je zriedkavá dedičná porucha charakterizovaná oneskorením vývoja, poruchami správania a poruchou spánku. Problémy so spánkom u ľudí so Smithovým-Magenisovým syndrómom sú spôsobené abnormálnym vzorcom tvorby melatonínu (hormónu, ktorý zohráva kľúčovú úlohu pri koordinácii cyklu spánku a bdlosti v tele).

Liek Hetlioz bol 22. mája 2023 označený ako liek na zriedkavé choroby (liek, ktorý sa používa pri zriedkavých chorobách) na liečbu Smithovho-Magenisovho syndrómu. Viac informácií o označovaní

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



liekov ako lieky na zriedkavé choroby sa nachádza na webovej stránke agentúry:
ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-23-2832.

Akým spôsobom liek Hetlioz účinkuje?

Melatonín sa v tele podieľa na koordinácii spánkového cyklu tak, že pôsobí na bunky v konkrétnych oblastiach mozgu a pomáha zaspáť. Jeho hladina v krvi sa zvyčajne zvýši po nástupe tmy a kulminuje v strede noci. Liečivo lieku Hetlioz, tasimelteon, pôsobí na rovnaké receptory ako melatonín, podporuje spánok a reguluje spánkové vzorce. Užívanie lieku každý deň vo vhodnom čase môže pomôcť obnoviť cyklus spánku a bdenia na štandardnejší čas.

V prípade Smithovho-Magenisovho syndrómu sa očakávalo, že liek Hetlioz bude účinkovať rovnakým spôsobom ako pri súčasnom použití.

Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť?

Spoločnosť predložila výsledky štúdie, na ktorej sa zúčastnilo 26 dospelých a detí vo veku od 3 rokov so Smithovým-Magenisovým syndrómom, ktorí mali poruchu nočného spánku. V štúdii sa porovnával účinok lieku Hetlioz na poruchu spánku s účinkom placeba (zdanlivého lieku) počas štyroch týždňov. Hlavným meradlom účinnosti bolo zlepšenie nočného spánku na základe priemernej kvality spánku a priemerného celkového času spánku, ktoré hodnotili opatrovatelia pomocou dotazníka po spánku.

Aké boli hlavné dôvody zamietnutia zmeny povolenia na uvedenie na trh?

V čase pôvodného hodnotenia agentúra usúdila, že existovali obavy týkajúce sa rozvrhu štúdie, štatistickej analýzy výsledkov a spôsobu, akým bola štúdia vykonaná, čo viedlo k nejasnostiam v súvislosti s pozorovanými účinkami liečby.

Agentúra preto usúdila, že prínosy lieku Hetlioz pri liečbe Smithovho-Magenisovho syndrómu nemožno stanoviť, a odporučila zamietnuť zmenu povolenia na uvedenie na trh.

Po opätovnom preskúmaní dostupných údajov výhrady agentúry neboli vyriešené a pôvodné zamietnutie bolo potvrdené.

Čo sa stane s liekom Hetlioz, ktorý sa používa na liečbu iných chorôb ako je porucha 24-hodinového rytmu spánku a bdenia (non-24)?

Na používanie lieku Hetlioz pri jeho schválenom používaní pri inej poruche ako je porucha 24-hodinového rytmu spánku a bdenia (non-24) nie sú žiadne dôsledky.