



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zavrnitev vloge za spremembo dovoljenja za promet z zdravilom Hetlioz (tasimelteon)

Ponovni pregled potrdil zavrnitev vloge

Evropska agencija za zdravila je potrdila svoje priporočilo za zavrnitev vloge za spremembo dovoljenja za promet z zdravilom Hetlioz. Sprememba se je nanašala na razširitev indikacije z vključitvijo zdravljenja motenj spanja ponoči pri odraslih s Smith-Magenisovim sindromom.

Agencija je mnenje po ponovnem pregledu izdala 16. marca 2026. Svoje prvotno mnenje je izdala 13. novembra 2025. Vlogo za spremembo dovoljenja za promet z zdravilom je predložilo podjetje Vanda Pharmaceuticals Netherlands B.V.

Kaj je zdravilo Hetlioz in za kaj se uporablja?

Hetlioz je zdravilo, ki se uporablja za zdravljenje motnje cikla spanja in budnosti, ki ni usklajen s 24-urnim ciklom dneva (ne-24-urni cikel), pri popolnoma slepih odraslih. Ne-24-urni cikel spanja in budnosti je motnja, ki se pojavlja skoraj izključno pri popolnoma slepih osebah in pri kateri imajo bolniki vzorce spanja, ki niso usklajeni z dnevom in nočjo ter pogosto sledijo ciklu, daljšemu od standardnega 24-urnega dneva. Posledično bolniki zaspijo in se zbudijo ob neobičajnih urah.

Zdravilo Hetlioz vsebuje učinkovino tasimelteon.

Več informacij o uporabah zdravila Hetlioz je na voljo na spletni strani agencije:
ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/hetlioz.

Za katero spremembo je zaprosilo podjetje?

Podjetje je zaprosilo za razširitev uporabe zdravila Hetlioz na zdravljenje motenj nočnega spanja pri odraslih s Smith-Magenisovim sindromom. Smith-Magenisov sindrom je redka dedna motnja, za katero so značilne zakasnitev razvoja, vedenjske težave in motnje spanja. Težave s spanjem pri ljudeh s Smith-Magenisovim sindromom povzročata nenormalen vzorec proizvodnje melatonina (hormona, ki ima ključno vlogo pri usklajevanju cikla spanja in budnosti v telesu).

Zdravilo Hetlioz je bilo 22. maja 2023 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni) za zdravljenje Smith-Magenisovega sindroma. Več informacij o določitvi zdravila sirote je voljo na spletišču agencije: 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



Kako zdravilo Hetlioz deluje?

Melatonin sodeluje pri usklajevanju spalnega cikla telesa, tako da deluje na celice v določenih predelih možganov in pomaga pri tem, da zaspimo. Njegove ravni v krvi se običajno povečajo, ko se začne temniti, vrhunec pa dosežejo sredi noči. Učinkovina v zdravilu Hetlioz, tasimelton, deluje na iste receptorje kot melatonin ter tako spodbuja spanje in ureja spalne vzorce. Z vsakodnevnim jemanjem ob ustreznem času lahko to zdravilo pomaga uskladiti cikel spanja in budnosti z običajnejšim časovnim razporedom.

Pri Smith-Magenisovem sindromu naj bi zdravilo Hetlioz delovalo enako kot pri obstoječi uporabi.

Katero dokumentacijo je podjetje predložilo v podporo svoji vlogi?

Podjetje je predstavilo rezultate študije, v katero je bilo vključenih 26 odraslih in otrok, starejših od treh let, s Smith-Magenisovim sindromom, ki so imeli motnje spanja ponoči. V študiji so učinek zdravila Hetlioz na motnje spanja štiri tedne primerjali z učinkom placeba (zdravila brez učinkovine). Glavno merilo učinkovitosti je bilo izboljšanje nočnega spanja na podlagi povprečne kakovosti spanja in povprečnega skupnega časa spanja, ki so ga negovalci ocenili v vprašalniku, izpolnjenem po spanju.

Kateri so bili glavni razlogi za zavrnitev vloge za spremembo dovoljenja za promet?

V času začetnega vrednotenja je agencija menila, da obstajajo pomisleki glede zasnove študije, statistične analize rezultatov in načina izvedbe študije, kar je privedlo do negotovosti glede opaženih učinkov zdravljenja.

Zato je menila, da koristi zdravila Hetlioz pri zdravljenju Smith-Magenisovega sindroma ni mogoče dokazati, in je priporočila zavrnitev spremembe dovoljenja za promet z zdravilom.

Po ponovnem pregledu razpoložljivih podatkov pomisleki agencije niso bili odpravljeni, zato je bila prvotna zavrnitev vloge potrjena.

Kaj to pomeni za nadaljnjo uporabo zdravila Hetlioz za zdravljenje motnje ne-24-urnega cikla spanja in budnosti?

Umik vloge nima nobenih posledic za zdravilo Hetlioz pri njegovi odobreni uporabi za ne-24-urni cikel spanja in budnosti.