



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Avslag på ansökan om ändring av godkännandet för försäljning av Hetlioz (tasimelteon)

Förnyad prövning bekräftar avslaget

Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) har bekräftat sin rekommendation att avslå ansökan om ändring av godkännandet för försäljning av Hetlioz. Ändringen gällde en utökning av indikationen för läkemedlet genom tillägg av behandling av sömnstörningar nattetid hos vuxna med Smith-Magenis syndrom.

EMA utfärdade sitt yttrande den 16 mars 2026 efter förnyad prövning. EMA utfärdade sitt ursprungliga yttrande den 13 november 2025. Företaget som ansökte om ändring av läkemedlets godkännande är Vanda Pharmaceuticals Netherlands B.V.

### Vad är Hetlioz och vad används det för?

Hetlioz används för att behandla blinda vuxna personer med sömnstörningen non-24-hour sleep-wake disorder. Sömnstörningen non-24-hour sleep-wake disorder är ett tillstånd som nästan uteslutande uppstår hos personer som är fullständigt blinda, där patienterna har sömnmönster som inte är synkroniserade med dag och natt och ofta följer en cykel som är längre än den vanliga på 24 timmar. Detta gör att patienterna somnar och vaknar på ovanliga tider.

Hetlioz innehåller den aktiva substansen tasimelteon.

Mer information om Hetlioz användningar finns på EMA:s webbplats:

[ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/hetlioz](https://ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/hetlioz).

### Vilken ändring hade företaget ansökt om?

Företaget ansökte om att utöka användningen av Hetlioz till att omfatta behandling av sömnstörningar nattetid hos vuxna med Smith-Magenis syndrom. Smith-Magenis syndrom är en sällsynt ärftlig sjukdom som kännetecknas av fördröjd utveckling, beteenderelaterade problem och sömnstörningar. Sömnproblemen hos personer med Smith-Magenis syndrom orsakas av ett onormalt produktionsmönster för melatonin (ett hormon som spelar en viktig roll när det gäller att reglera kroppens sömn-vakenhetscykel).

---

**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](https://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](https://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Hetlioz klassificerades som säräkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 22 maj 2023, för behandling av Smith-Magenis syndrom. Mer information om klassificeringen som säräkemedel finns på EMA:s webbplats: [ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-23-2832](https://ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-23-2832).

## **Hur verkar Hetlioz?**

Melatonin hjälper till att reglera kroppens sömncykel genom att påverka celler i specifika områden i hjärnan så att insomning kan ske. Melatoninhalten i blodet stiger vanligtvis efter mörkrets inbrott och når sin högsta nivå mitt i natten. Den aktiva substansen i Hetlioz, tasimelteon, verkar på samma receptorer som melatonin för att främja sömnen och reglera sömnmönstren. Genom att ta den vid en lämplig tid varje dag kan den hjälpa till att ställa om sömn-vakenhetscykeln så att denna hamnar närmare standardtid.

Vid Smith-Magenis syndrom förväntades Hetlioz verka på samma sätt som vid dess godkända användning.

## **Vad har företaget lämnat in som stöd för sin ansökan?**

Företaget lade fram resultaten av en studie på 26 vuxna och barn från 3 års ålder med Smith-Magenis syndrom och sömnstörningar nattetid. I studien jämfördes Hetlioz effekt på sömnstörningar med effekten av placebo (overksam behandling) under fyra veckors tid. Huvudeffektmåttet var förbättringen av nattsömnen baserat på genomsnittlig sömnkvalitet och genomsnittlig total sömntid, utvärderad av vårdgivare med hjälp av ett frågeformulär som fylldes i efter varje natts sömn.

## **Vilka var de främsta skälen till att avslå ansökan om ändring av godkännandet för försäljning?**

Vid tidpunkten för den första utvärderingen hade EMA betänkligheter angående studiens utformning, den statistiska analysen av resultaten och det sätt på vilket studien hade utförts, vilket ledde till osäkerhet kring de observerade behandlingseffekterna.

EMA ansåg därför att fördelarna med Hetlioz vid behandling av Smith-Magenis syndrom inte kunde fastställas, och myndigheten rekommenderade att ansökan om ändring av godkännandet för försäljning skulle avslås.

Efter förnyad prövning av de tillgängliga uppgifterna kvarstod EMA:s betänkligheter, varför det ursprungliga avslaget bekräftades.

## **Vad händer med Hetlioz vid behandling av non-24-hour sleep-wake disorder?**

Avslaget får inga följder för Hetlioz vid dess godkända användning, det vill säga för behandling av non-24-hour sleep-wake disorder.