



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/78494/2026
EMA/H/C/005927

Joenja (*leniolisib*)

Общ преглед на Joenja на разбираем език и основания за разрешаване в ЕС

Какво представлява Joenja и за какво се използва?

Joenja е лекарство, което се използва за лечение на синдром на активирана фосфоинозитид-3-киназа делта (APDS) при възрастни и юноши на възраст над 12 години и с тегло 45 kg или повече.

APDS е рядко наследствено заболяване, при което имунната система (естествените защитни сили на организма) не функционира правилно, което прави пациентите по-податливи на бактериални и вирусни инфекции. Заболяването може да доведе и до автоимунни нарушения и лимфом (рак на лимфоцитите — вид бели кръвни клетки).

APDS се счита за рядко заболяване и Joenja е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) на 19 октомври 2020 г. Допълнителна информация за лекарствата сираци има на [уебсайта на ЕМА](#).

Joenja съдържа активното вещество лениолисиб (*leniolisib*).

Как се използва Joenja?

Лекарството се отпуска по лекарско предписание. Лечението трябва да бъде започнато от лекар с опит в лечението на първични имунни дефицити (когато имунната система не функционира правилно).

Joenja се предлага под формата на таблетки за прием през устата два пъти дневно през интервал от приблизително 12 часа. Лечението трябва да продължи, докато пациентът има полза от него или докато нежеланите реакции станат неприемливи.

За повече информация относно употребата на Joenja вижте листовката или се свържете с вашия лекар или фармацевт.

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



Как действа Joenja?

Хората с APDS имат мутации (промени) в гените, които контролират производството на белтъка фосфоинозитид-3-киназа делта. Този белтък е от съществено значение за развитието и функцията на лимфоцитите (В и Т клетки), които играят ключова роля в имунната система. Поради мутациите белтъкът става свръхактивен и това пречи на нормалното развитие и функция на лимфоцитите. Това води до повишени нива на незрели В-клетки, които се натрупват в лимфните възли (лимфаденопатия) и органи като далака, черния дроб или белите дробове, както и до намалени нива на неактивирани В-клетки (новообразувани зрели В-клетки, участващи в първоначалния имунен отговор), което засяга способността на пациента да се бори с инфекции.

Активното вещество в Joenja, лениолисиб, се свързва с фосфоинозитид-3-киназа делта и намалява активността ѝ, което води до нормалното развитие и функция на В и Т клетките.

Какви ползи от Joenja са установени в проучванията?

Едно основно проучване обхваща 31 лица на възраст над 12 години с APDS, които получават Joenja или плацебо (сляпо лечение) заедно със стандартно лечение за овладяване на симптомите на заболяването. Проучването разглежда промяната в нивото на лимфаденопатия и в дела на неактивирани В-клетки след 12 седмици на лечение.

При хората, приемащи Joenja, се наблюдава по-голямо намаляване на нивото на лимфаденопатия, отколкото при тези, приемащи плацебо, което показва намаляване на лимфопролиферацията (анормално производство на лимфоцити). Освен това се наблюдава по-голямо увеличение на дела на неактивирани В-клетки при хората, приемащи Joenja, отколкото при тези, приемащи плацебо, което показва, че развитието на В-клетките може да се е нормализирало.

Проучванията, проведени с Joenja, са описани по-подробно в доклада за оценка на лекарството.

Какви са нежеланите реакции и ограниченията при Joenja?

За пълния списък на нежеланите реакции и ограниченията при Joenja вижте листовката.

Най-честите нежелани реакции при Joenja (може да засегнат повече от 1 на 10 души) включват понижени нива на неутрофилите (вид бели кръвни клетки), главоболие, повръщане, повишено телло и алоpecia (косопад).

Защо Joenja е разрешен за употреба в ЕС?

Показано е, че Joenja е ефективен за намаляване на лимфаденопатията и увеличаване на броя на неактивирани В-клетки при хора с APDS, което се очаква да намали риска от инфекция и други усложнения, свързани със заболяването. Профилът на безопасност се счита за приемлив, като нежеланите реакции обикновено е възможно да се овладеят. Поради това Европейската агенция по лекарствата реши, че ползите от употребата на Joenja са по-големи от рисковете и Joenja може да бъде разрешен за употреба в ЕС.

Joenja е разрешен за употреба при „извънредни обстоятелства“. Причината е, че не е било възможно да се получи пълна информация за Joenja поради рядкото разпространение на заболяването. Фирмата трябва да предостави допълнителни данни за Joenja. Тя трябва да подаде резултатите от базирано на регистър проучване за дългосрочната безопасност и ефективност на Joenja и да предоставя ежегодни актуализации на всяка нова информация относно безопасността и ефективността на лекарството. Всяка година Агенцията ще извършва преглед на новата информация.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Јоенја?

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Јоенја, които следва да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Както при всички лекарства, данните във връзка с употребата на Јоенја непрекъснато се проследяват. Съобщените нежелани реакции, свързани с употребата на Јоенја, внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

Допълнителна информация за Јоенја

Допълнителна информация за Јоенја, включително листовката и докладът за оценка, има на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/joenja.

За да разберете дали лекарството се предлага във вашата държава, се свържете с [националния компетентен орган](#).