



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Joenja (*leniolisib*)

Přehled pro přípravek Joenja ve srozumitelném jazyce a proč byl přípravek registrován v EU

### Co je přípravek Joenja a k čemu se používá?

Joenja je léčivý přípravek, který se používá k léčbě syndromu aktivované fosfoinositid-3-kinázy delta (APDS) u dospělých a dospívajících pacientů ve věku 12 let a starších s tělesnou hmotností 45 kg nebo více.

APDS je vzácné dědičné onemocnění, při kterém imunitní systém (přirozený obranný systém těla) nefunguje správně, což pacienty činí náchylnějšími k bakteriálním a virovým infekcím. Onemocnění může rovněž vést k rozvoji autoimunitních poruch a lymfomu (nádorového onemocnění lymfocytů, což je typ bílých krvinek).

APDS je vzácné onemocnění a přípravek Joenja byl označen dne 19. října 2020 jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete na [internetových stránkách](#) agentury EMA.

Přípravek Joenja obsahuje léčivou látku leniolisib.

### Jak se přípravek Joenja používá?

Výdej léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis. Léčbu musí zahájit lékař, který má zkušenosti s léčbou primárních imunodeficiencí (stavů, při nichž imunitní systém nefunguje správně).

Přípravek Joenja je dostupný ve formě tablet užívaných ústy dvakrát denně s odstupem přibližně 12 hodin. Léčba by měla pokračovat tak dlouho, dokud je pro pacienta přínosná nebo dokud se u něj neobjeví nepřijatelné nežádoucí účinky.

Více informací o používání přípravku Joenja naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

---

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

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

An agency of the European Union



## **Jak přípravek Joenja působí?**

Lidé s APDS vykazují mutace (změny) v genech, které kontrolují tvorbu bílkoviny zvané fosfoinositid-3-kináza delta. Tato bílkovina je nezbytná pro vývoj a funkci lymfocytů (B a T lymfocytů), které sehrávají klíčovou úlohu ve fungování imunitního systému. Tyto mutace způsobují nadměrnou aktivitu této bílkoviny a narušují normální vývoj a funkci lymfocytů. To vede ke zvýšeným hladinám nezralých B lymfocytů, které se hromadí v lymfatických uzlinách (lymfadenopatie) a orgánech, jako jsou slezina, játra nebo plíce, jakož i ke sníženým hladinám naivních B lymfocytů (nově vytvořených zralých B lymfocytů podílejících se na počáteční imunitní odpovědi), což ovlivňuje schopnost pacienta bojovat s infekcemi.

Léčivá látka v přípravku Joenja, leniolisib, se váže na fosfoinositid-3-kinázu delta a snižuje její aktivitu, což vede k normálnímu vývoji a funkci B a T lymfocytů.

## **Jaké přínosy přípravku Joenja byly prokázány v průběhu studií?**

Do jedné hlavní studie bylo zařazeno 31 osob ve věku od 12 let s APDS, kterým byl k léčbě příznaků onemocnění podáván buď přípravek Joenja, nebo placebo (neúčinný přípravek) spolu se standardní léčbou. Studie zkoumala změnu hladiny lymfadenopatie a podílu naivních B lymfocytů po 12 týdnech léčby.

U osob užívajících přípravek Joenja došlo k výraznějšímu snížení lymfadenopatie než u osob užívajících placebo, což naznačuje snížení lymfoproliferace (abnormální produkce lymfocytů). U osob užívajících přípravek Joenja došlo navíc k výraznějšímu nárůstu podílu naivních B lymfocytů než u osob, kterým bylo podáváno placebo, což naznačuje, že vývoj B lymfocytů se mohl normalizovat.

Studie provedené s přípravkem Joenja jsou podrobněji popsány v hodnotící zprávě přípravku.

## **Jaké jsou nežádoucí účinky a omezení přípravku Joenja?**

Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení přípravku Joenja je uveden v příbalové informaci.

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Joenja (které mohou postihnout více než 1 osobu z 10) jsou snížené hladiny neutrofilů (typu bílých krvinek), bolest hlavy, zvracení, zvýšená tělesná hmotnost a alopecie (vypadávání vlasů).

## **Na základě čeho byl přípravek Joenja registrován v EU?**

Bylo prokázáno, že přípravek Joenja je účinný při snižování lymfadenopatie a zvyšování počtu naivních B lymfocytů u osob s APDS, což by mělo snížit riziko infekce a dalších komplikací spojených s tímto onemocněním. Bezpečnostní profil byl považován za přijatelný, přičemž nežádoucí účinky se považují za obecně zvladatelné. Evropská agentura pro léčivé přípravky proto rozhodla, že přínosy přípravku Joenja převyšují jeho rizika, a může tak být registrován k použití v EU.

Přípravek Joenja byl registrován za „výjimečných okolností“, neboť vzhledem ke vzácné povaze onemocnění nebylo možné o přípravku Joenja získat úplné informace. Společnost musí poskytnout další údaje o přípravku Joenja. Musí předložit výsledky studie založené na registru pacientů, která se týká dlouhodobé bezpečnosti a účinnosti přípravku Joenja, a musí každoročně poskytovat aktualizované informace o veškerých nových poznatcích týkajících se bezpečnosti a účinnosti tohoto léčivého přípravku. Agentura každoročně vyhodnotí jakékoli nové informace.

## **Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Joenja?**

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Joenja, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Joenja průběžně sledovány. Podezření na nežádoucí účinky nahlášená v souvislosti s přípravkem Joenja jsou pečlivě hodnocena a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

### **Další informace o přípravku Joenja**

Další informace o přípravku Joenja, včetně příbalové informace a hodnotící zprávy, jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/joenja](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/joenja).

Informace o dostupnosti tohoto přípravku ve vaší zemi vám poskytne [příslušný vnitrostátní orgán](#).