



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Joenja (*leniolisib*)

En letlæselig oversigt over Joenja, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Joenja, og hvad anvendes det til?

Joenja er et lægemiddel til behandling af aktiveret phosphoinositid-3-kinase-delta-syndrom (APDS) hos voksne og unge fra 12-årsalderen, som vejer 45 kg eller derover.

APDS er en sjælden, arvelig sygdom, hvor kroppens immunforsvar ikke fungerer korrekt, og patienterne bliver dermed mere følsomme over for bakterie- og virusinfektioner. Sygdommen kan også føre til autoimmune sygdomme og lymfom (kræft i lymfocytterne, en type hvide blodlegemer).

APDS er sjælden, og Joenja blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 19. oktober 2020. Der findes mere information om lægemidler til sjældne sygdomme på [EMA's websted](#).

Joenja indeholder det aktive stof leniolisib.

Hvordan anvendes Joenja?

Lægemidlet fås kun på recept. Behandlingen skal indledes af en læge, der har erfaring med behandling af primære immundefekter (når immunforsvaret ikke fungerer korrekt).

Joenja fås som tabletter, der tages gennem munden to gange dagligt med ca. 12 timers mellemrum. Behandlingen bør fortsætte, så længe patienten har gavn af den, eller indtil patienten ikke længere tolererer eventuelle bivirkninger.

Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Joenja, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

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



Hvordan virker Joenja?

Personer med APDS har mutationer (forandringer) i de gener, der kontrollerer produktionen af proteinet phosphoinositid-3-kinase-delta. Dette protein er afgørende for udviklingen og funktionen af lymfocytter (B- og T-celler), som spiller en central rolle i immunforsvaret. Mutationerne gør proteinet overaktivt, så det forstyrrer lymfocytternes normale udvikling og funktion. Dette bevirker en stigning i mængden af umodne B-celler, der ophobes i lymfeknuderne (lymfadenopati) og organer som milten, leveren eller lungerne, samt et fald i antallet af naive B-celler (nydannede modne B-celler, der medvirker ved den indledende immunrespons). Dette påvirker patientens evne til at bekæmpe infektioner.

Det aktive stof i Joenja, leniolisib, binder sig til phosphoinositid-3-kinase-delta og nedsætter dets aktivitet, så B- og T-cellerne igen kan udvikle sig og fungere normalt.

Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Joenja?

Et hovedstudie omfattede 31 personer fra 12-årsalderen med APDS, som fik enten Joenja eller placebo (en uvirksom behandling) sammen med standardbehandling til at behandle sygdomssymptomerne. Studiet så nærmere på ændringen i omfanget af lymfadenopati og andelen af naive B-celler efter 12 ugers behandling.

Dem, der fik Joenja, oplevede en større reduktion i lymfadenopati end dem, der fik placebo, hvilket tyder på et fald i lymfoproliferationen (unormal produktion af lymfocytter). Desuden var der en større stigning i andelen af naive B-celler hos dem, der fik Joenja, end hos dem, der fik placebo, hvilket tyder på, at udviklingen af B-celler kan have normaliseret sig.

De gennemførte studier med Joenja er beskrevet nærmere i lægemidlets vurderingsrapporter.

Hvilke bivirkninger og begrænsninger er der ved Joenja?

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Joenja fremgår af indlægssedlen.

De mest almindelige bivirkninger ved Joenja (som kan forekomme hos mere end 1 ud af 10 personer) omfatter lavt neutrofilantal (en type hvide blodlegemer), hovedpine, opkastning, vægtforøgelse og alopeci (hårtab).

Hvorfor er Joenja godkendt i EU?

Joenja viste sig at være effektivt til at reducere lymfadenopati og øge antallet af naive B-celler hos personer med APDS, hvilket forventes at reducere risikoen for infektion og andre komplikationer i forbindelse med sygdommen. Sikkerhedsprofilen blev anset for at være acceptabel, og bivirkningerne kunne generelt håndteres. Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede derfor, at fordelene ved Joenja opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Joenja er blevet godkendt under "særlige omstændigheder". Det skyldes, at det grundet sygdommens sjældenhed ikke har været muligt at indhente fyldestgørende oplysninger om Joenja. Virksomheden skal fremlægge flere oplysninger om Joenja. Det skal indsende resultaterne af et registerbaseret studie af Joenjas sikkerhed og virkning på lang sigt og give årlige opdateringer om eventuelle nye oplysninger vedrørende lægemidlets sikkerhed og virkning. Hvert år vil agenturet gennemgå alle nye oplysninger, der bliver tilgængelige.

Hvad gøres der for at sikre, at Joenja anvendes sikkert og effektivt?

Der er anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre, at de anvender Joenja sikkert og effektivt.

Som for alle lægemidler bliver oplysninger vedrørende anvendelsen af Joenja løbende overvåget. De formodede bivirkninger ved Joenja vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Øvrig information om Joenja

Der findes mere information om Joenja, herunder indlægssedlen og vurderingsrapporten, på agenturets websted: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/joenja.

Hvis du ønsker at vide, om lægemidlet er tilgængeligt i dit land, kan du kontakte den [nationale kompetente myndighed](#).