



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Joenja (*Leniolisib*)

Leicht verständliche Übersicht über Joenja und warum es in der EU zugelassen ist

### Was ist Joenja und wofür wird es angewendet?

Joenja ist ein Arzneimittel zur Behandlung des aktivierten Phosphoinositid-3-Kinase-Delta-Syndroms (APDS) bei Erwachsenen und Jugendlichen ab 12 Jahren mit einem Körpergewicht von mindestens 45 kg.

APDS ist eine seltene Erbkrankheit, bei der das Immunsystem (die natürliche Abwehr des Körpers) nicht richtig funktioniert, wodurch die Patienten anfälliger für bakterielle und virale Infektionen werden. Die Erkrankung kann auch zu Autoimmunerkrankungen und Lymphomen führen (Krebs der Lymphozyten, einer Art weißer Blutkörperchen).

APDS ist selten, und Joenja wurde am 19. Oktober 2020 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen. Weitere Informationen zur Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden finden Sie auf den [Internetseiten](#) der EMA.

Joenja enthält den Wirkstoff Leniolisib.

### Wie wird Joenja angewendet?

Das Arzneimittel ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich. Die Behandlung muss von einem Arzt eingeleitet werden, der Erfahrung in der Behandlung primärer Immundefekte besitzt (wenn das Immunsystem nicht ordnungsgemäß funktioniert).

Joenja ist als Tabletten erhältlich, die zweimal täglich im Abstand von etwa 12 Stunden einzunehmen sind. Die Behandlung sollte so lange fortgesetzt werden, wie das Arzneimittel für den Patienten von Nutzen ist oder bis die Nebenwirkungen nicht mehr akzeptabel sind.

Weitere Informationen zur Anwendung von Joenja entnehmen Sie der Packungsbeilage, oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

---

**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



## Wie wirkt Joenja?

Personen mit APDS weisen Mutationen (Veränderungen) in den Genen auf, die die Bildung eines Proteins namens Phosphoinositid-3-Kinase-Delta steuern. Dieses Protein ist für die Entwicklung und Funktion der Lymphozyten (B- und T-Zellen), die eine Schlüsselrolle im Immunsystem spielen, von wesentlicher Bedeutung. Die Mutationen machen das Protein überaktiv und beeinträchtigen die normale Entwicklung und Funktion der Lymphozyten. Dies führt zu erhöhten Konzentrationen unreifer B-Zellen, die sich in den Lymphknoten (Lymphadenopathie) und Organen wie Milz, Leber oder Lunge bilden, sowie zu reduzierten Konzentrationen naiver B-Zellen (neu gebildete reife B-Zellen, die an der anfänglichen Immunantwort beteiligt sind), was die Fähigkeit des Patienten beeinträchtigt, Infektionen zu bekämpfen.

Der Wirkstoff in Joenja, Leniolisib, bindet an Phosphoinositid-3-Kinase-Delta und reduziert seine Aktivität, was dazu führt, dass sich B- und T-Zellen normal entwickeln und funktionieren.

## Welchen Nutzen hat Joenja in den Studien gezeigt?

An einer Hauptstudie nahmen 31 Personen ab 12 Jahren mit APDS teil, die entweder Joenja oder Placebo (eine Scheinbehandlung) zusammen mit einer Standardbehandlung zur Behandlung der Symptome der Erkrankung erhielten. In der Studie wurde die Veränderung der Lymphadenopathie und des Anteils naiver B-Zellen nach 12-wöchiger Behandlung untersucht.

Bei den Personen, die Joenja einnahmen, zeigte sich eine stärkere Verringerung der Lymphadenopathie als bei den Personen, die Placebo erhielten; dies deutet auf eine Verringerung der Lymphoproliferation (anormale Produktion von Lymphozyten) hin. Darüber hinaus war bei den Personen, die Joenja einnahmen, ein größerer Anstieg des Anteils naiver B-Zellen zu verzeichnen als bei den Patienten, die Placebo erhielten, was darauf hindeutet, dass sich die B-Zellentwicklung normalisiert haben könnte.

Studien, die mit Joenja durchgeführt wurden, werden im Beurteilungsbericht des Arzneimittels ausführlicher beschrieben.

## Welche Nebenwirkungen und Einschränkungen gibt es im Zusammenhang mit Joenja?

Die vollständige Auflistung der Nebenwirkungen und Einschränkungen im Zusammenhang mit Joenja ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Sehr häufige Nebenwirkungen von Joenja (die mehr als 1 von 10 Behandelten betreffen können) sind eine verminderte Anzahl von Neutrophilen (einer Art weißer Blutkörperchen), Kopfschmerzen, Erbrechen, Gewichtszunahme und Alopezie (Haarausfall).

## Warum wurde Joenja in der EU zugelassen?

Joenja hat sich bei der Reduzierung der Lymphadenopathie und bei der Erhöhung der Anzahl naiver B-Zellen bei Personen mit APDS als wirksam erwiesen. Es wird davon ausgegangen, dass dadurch das Risiko einer Infektion und anderer mit der Erkrankung verbundener Komplikationen verringert wird. Das Sicherheitsprofil wurde als akzeptabel angesehen und die Nebenwirkungen wurden im Allgemeinen als beherrschbar erachtet. Die Europäische Arzneimittel-Agentur gelangte daher zu dem Schluss, dass der Nutzen von Joenja gegenüber den Risiken überwiegt und dass es in der EU zugelassen werden kann.

Joenja wurde unter „außergewöhnlichen Umständen“ zugelassen. Dies bedeutet, dass es aufgrund der Seltenheit der Krankheit nicht möglich war, vollständige Informationen über Joenja zu erlangen. Das

Unternehmen muss weitere Daten zu Joenja vorlegen. Es muss die Ergebnisse einer registerbasierten Studie zur langfristigen Sicherheit und Wirksamkeit von Joenja vorlegen und jährliche Aktualisierungen aller neuen Informationen zur Sicherheit und Wirksamkeit des Arzneimittels bereitstellen. Die Agentur wird jedes Jahr sämtliche neuen Informationen prüfen, die verfügbar werden.

### **Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Joenja ergriffen?**

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Joenja, die von medizinischen Fachkräften und Patienten befolgt werden müssen, wurden in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Wie bei allen Arzneimitteln werden Daten zur Anwendung von Joenja kontinuierlich überwacht. Gemeldete Verdachtsfälle von Nebenwirkungen von Joenja werden sorgfältig ausgewertet und alle notwendigen Maßnahmen zum Schutz der Patienten ergriffen.

### **Weitere Informationen über Joenja**

Weitere Informationen zu Joenja, einschließlich der Packungsbeilage und des Beurteilungsberichts, finden Sie auf den Internetseiten der Agentur: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/joenja](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/joenja).

Wenn Sie Informationen zur Verfügbarkeit dieses Arzneimittels in Ihrem Land benötigen, wenden Sie sich bitte an Ihre [zuständige nationale Behörde](#).