



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Joenja (λενιολισίμμη)

Ανασκόπηση του Joenja σε απλή γλώσσα και αιτιολογικό έγκρισης στην ΕΕ

Τι είναι το Joenja και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Joenja είναι φάρμακο που χρησιμοποιείται για τη θεραπεία του συνδρόμου ενεργοποιημένης φωσφοϊνοσιτιδικής 3-κινάσης δ (APDS) σε ενήλικες και εφήβους ηλικίας 12 ετών και άνω και βάρους 45 kg ή άνω.

Το σύνδρομο APDS είναι μια σπάνια, κληρονομική νόσος κατά την οποία το ανοσοποιητικό σύστημα (η φυσική άμυνα του οργανισμού) δεν λειτουργεί σωστά, γεγονός που καθιστά τους ασθενείς πιο ευάλωτους σε βακτηριακές και ιογενείς λοιμώξεις. Η πάθηση μπορεί επίσης να οδηγήσει σε αυτοάνοσες διαταραχές και λέμφωμα (καρκίνος των λεμφοκυττάρων, ενός τύπου λευκών αιμοσφαιρίων).

Η APDS είναι «σπάνια» νόσος και το Joenja χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες παθήσεις) στις 19 Οκτωβρίου 2020. Περισσότερες πληροφορίες για τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού μπορείτε να βρείτε στον [δικτυακό τόπο του EMA](#).

Το Joenja περιέχει τη δραστική ουσία λενιολισίμμη.

Πώς χρησιμοποιείται το Joenja;

Το φάρμακο χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή. Η έναρξη της θεραπείας πρέπει να πραγματοποιείται από γιατρό με εμπειρία στη διαχείριση των πρωτοπαθών ανοσοανεπαρκειών (όταν το ανοσοποιητικό σύστημα δεν λειτουργεί σωστά).

Το Joenja διατίθεται υπό μορφή δισκίων τα οποία λαμβάνονται από το στόμα δύο φορές την ημέρα, με διαφορά περίπου 12 ωρών. Η θεραπεία πρέπει να συνεχίζεται για όσο χρονικό διάστημα ο ασθενής αντλεί όφελος από αυτήν ή έως ότου οι ανεπιθύμητες ενέργειες καταστούν μη αποδεκτές.

Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Joenja, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Πώς δρα το Joenja;

Τα άτομα με APDS παρουσιάζουν μεταλλάξεις (αλλαγές) στα γονίδια που ελέγχουν την παραγωγή μιας πρωτεΐνης που ονομάζεται φωσφοϊνοσιτιδική 3-κινάση δ. Η πρωτεΐνη αυτή είναι απαραίτητη για την

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



ανάπτυξη και τη λειτουργία των λεμφοκυττάρων (B και T κύτταρα), τα οποία διαδραματίζουν καθοριστικό ρόλο στο ανοσοποιητικό σύστημα. Οι μεταλλάξεις καθιστούν την πρωτεΐνη υπερδραστήρια, με αποτέλεσμα να παρεμβαίνει στη φυσιολογική ανάπτυξη και λειτουργία των λεμφοκυττάρων. Αυτό οδηγεί σε αυξημένα επίπεδα μη ώριμων B κυττάρων, τα οποία συσσωρεύονται στους λεμφαδένες (λεμφαδενοπάθεια) και σε όργανα όπως ο σπλήνας, το ήπαρ ή οι πνεύμονες, καθώς και σε μειωμένα επίπεδα παύει B κυττάρων (νεοσχηματισμένα ώριμα B κύτταρα που συμμετέχουν στην αρχική ανοσολογική απόκριση), επηρεάζοντας την ικανότητα του ασθενούς να καταπολεμά τις λοιμώξεις.

Η δραστική ουσία του Joenja, η λενιολισίμμη, προσκολλάται στη φωσφοϊνδοσιτιδική 3-κινάση δ και μειώνει τη δραστηριότητά της, οδηγώντας στη φυσιολογική ανάπτυξη και λειτουργία των B και T κυττάρων.

Ποια είναι τα οφέλη του Joenja σύμφωνα με τις μελέτες;

Σε μία κύρια μελέτη μετείχαν 31 άτομα ηλικίας 12 ετών και άνω με APDS, τα οποία έλαβαν είτε Joenja είτε εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία) παράλληλα με την καθιερωμένη θεραπεία για τη διαχείριση των συμπτωμάτων της πάθησης. Η μελέτη εξέτασε τη μεταβολή στα επίπεδα της λεμφαδενοπάθειας και στο ποσοστό των παύει B κυττάρων μετά από 12 εβδομάδες θεραπείας.

Τα άτομα που έλαβαν Joenja παρουσίασαν μεγαλύτερη μείωση της λεμφαδενοπάθειας σε σύγκριση με τα άτομα που έλαβαν εικονικό φάρμακο, γεγονός που υποδηλώνει μείωση της λεμφοϋπερπλασίας (μη φυσιολογική παραγωγή λεμφοκυττάρων). Επιπλέον, σημειώθηκε μεγαλύτερη αύξηση στο ποσοστό των παύει B κυττάρων στα άτομα που έλαβαν Joenja απ' ό,τι στα άτομα που έλαβαν εικονικό φάρμακο, γεγονός που υποδηλώνει ότι η ανάπτυξη των B κυττάρων μπορεί να έχει κανονικοποιηθεί.

Οι μελέτες που πραγματοποιήθηκαν για το Joenja περιγράφονται λεπτομερέστερα στην έκθεση αξιολόγησης του φαρμάκου.

Ποιες είναι οι ανεπιθύμητες ενέργειες και οι περιορισμοί του Joenja;

Ο πλήρης κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών και των περιορισμών που αναφέρθηκαν με το Joenja περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Οι πιο συχνές ανεπιθύμητες ενέργειες του Joenja (ενδέχεται να εμφανιστούν σε περισσότερους από 1 στους 10 ασθενείς) είναι μειωμένα επίπεδα ουδετερόφιλων (τύπος λευκών αιμοσφαιρίων), πονοκέφαλος, έμετος, αυξημένο βάρος και αλωπεκία (τριχόπτωση).

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Joenja στην ΕΕ;

Το Joenja αποδείχθηκε αποτελεσματικό στη μείωση της λεμφαδενοπάθειας και στην αύξηση του αριθμού των παύει B κυττάρων σε άτομα με APDS, γεγονός που αναμένεται να μειώσει τον κίνδυνο λοίμωξης και άλλων επιπλοκών που σχετίζονται με τη συγκεκριμένη πάθηση. Η εικόνα ασφάλειας κρίθηκε αποδεκτή, με τις ανεπιθύμητες ενέργειες να είναι σε γενικές γραμμές διαχειρίσιμες. Ως εκ τούτου, ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων έκρινε ότι τα οφέλη του Joenja υπερτερούν των διαπιστωθέντων κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την έγκριση του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ.

Το Joenja εγκρίθηκε με τη διαδικασία των «εξαιρετικών περιστάσεων», διότι, λόγω της σπανιότητας της ασθένειας, δεν ήταν δυνατή η συγκέντρωση ολοκληρωμένων πληροφοριών για το Joenja. Η εταιρεία υποχρεούται να προσκομίσει περαιτέρω στοιχεία σχετικά με το Joenja. Πρέπει να υποβάλει τα αποτελέσματα μιας μελέτης που βασίζεται σε μητρώο σχετικά με τη μακροπρόθεσμη ασφάλεια και αποτελεσματικότητα του Joenja και να παρέχει ετήσιες επικαιροποιήσεις σχετικά με τυχόν νέες πληροφορίες που αφορούν την ασφάλεια και την αποτελεσματικότητα του φαρμάκου. Ο Οργανισμός θα αξιολογεί ετησίως κάθε νέα πληροφορία που θα είναι διαθέσιμη.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Joenja;

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Joenja.

Όπως για όλα τα φάρμακα, τα δεδομένα για τη χρήση του Joenja τελούν υπό συνεχή παρακολούθηση. Οι πιθανολογούμενες ανεπιθύμητες ενέργειες που αναφέρονται για το Joenja αξιολογούνται προσεκτικά και λαμβάνονται όλα τα απαραίτητα μέτρα για την προστασία των ασθενών.

Λοιπές πληροφορίες για το Joenja

Περισσότερες πληροφορίες για το Joenja, καθώς και το φύλλο οδηγιών χρήσης και η έκθεση αξιολόγησης, διατίθενται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/joenja.

Για πληροφορίες σχετικά με τη διαθεσιμότητα αυτού του φαρμάκου στη χώρα σας, επικοινωνήστε με την [εθνική αρμόδια αρχή](#).