



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Joenja (*leniolisib*)

Información general en lenguaje claro sobre Joenja y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

¿Qué es Joenja y para qué se utiliza?

Joenja es un medicamento que se utiliza para tratar el síndrome de activación de la PI3 quinasa delta activada (ADPS) en adultos y adolescentes a partir de los 12 años de edad y con un peso igual o superior a 45 kg.

El síndrome APDS es una enfermedad hereditaria rara en la que el sistema inmunitario (las defensas naturales del organismo) no funciona correctamente, lo que hace que los pacientes sean más sensibles a las infecciones bacterianas y víricas. Esta enfermedad también puede provocar trastornos autoinmunitarios y linfoma (cáncer de los linfocitos, un tipo de glóbulos blancos).

El APDS es una enfermedad «rara», y Joenja fue designado «medicamento huérfano» (un medicamento utilizado para tratar enfermedades raras) el 19 de octubre de 2020. Puede encontrar más información sobre la designación de medicamento huérfano en el [sitio web de la EMA](#).

Joenja contiene el principio activo leniolisib.

¿Cómo se usa Joenja?

Este medicamento solo se podrá dispensar con receta médica. El tratamiento debe iniciarlo un médico con experiencia en el tratamiento de las deficiencias inmunitarias primarias (cuando el sistema inmunitario no funciona correctamente).

Joenja se presenta en comprimidos para tomar por vía oral dos veces al día, con un intervalo aproximado de 12 horas. El tratamiento debe continuar mientras el paciente se beneficie de él o hasta que los efectos adversos no sean aceptables.

Si desea más información sobre el uso de Joenja, lea el prospecto o consulte a un profesional sanitario.

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



¿Cómo actúa Joenja?

Las personas con APDS presentan mutaciones (cambios) en los genes que controlan la producción de una proteína denominada fosfoinositida 3-quinasa delta. Esta proteína es esencial para el desarrollo y el funcionamiento de los linfocitos (células B y T), que desempeñan un papel clave en el sistema inmunitario. Las mutaciones hacen que la proteína sea hiperactiva, interfiriendo en el desarrollo y el funcionamiento normales de los linfocitos. Esto provoca un aumento de los niveles de células B inmaduras que se acumulan en los ganglios linfáticos (linfadenopatía) y en órganos como el bazo, el hígado o los pulmones, así como una reducción de los niveles de células B no tratadas previamente (células B maduras recién formadas que participan en la respuesta inmunitaria inicial), lo que afecta a la capacidad del paciente para combatir las infecciones.

El principio activo de Joenja, el leniolisib, se une a la fosfoinositida 3-quinasa delta y reduce su actividad, lo que conduce al desarrollo y el funcionamiento normales de los linfocitos B y T.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Joenja en los estudios realizados?

En un estudio principal participaron 31 personas a partir de los 12 años de edad con APDS, que recibieron Joenja o placebo (un tratamiento ficticio) junto con un tratamiento estándar para tratar los síntomas de la enfermedad. En el estudio se examinó el cambio en el nivel de linfadenopatía y en la proporción de linfocitos B no tratados previamente al cabo de 12 semanas de tratamiento.

Las personas que tomaron Joenja experimentaron una mayor reducción de la linfadenopatía que las que tomaron placebo, lo que indica una reducción de la linfoproliferación (producción anómala de linfocitos). Además, se produjo un mayor aumento de la proporción de linfocitos B no tratados previamente en las personas que tomaron Joenja que en las que recibieron placebo, lo que indica que el desarrollo de células B puede haberse normalizado.

Los estudios realizados con Joenja se describen con más detalle en el informe de evaluación del medicamento.

¿Cuáles son los efectos adversos y las restricciones de Joenja?

La lista completa de efectos adversos y restricciones de Joenja se puede consultar en el prospecto.

Los efectos adversos más frecuentes de Joenja (pueden afectar a más de 1 de cada 10 pacientes) son disminución de los niveles de neutrófilos (un tipo de glóbulo blanco), dolor de cabeza, vómitos, aumento de peso y alopecia (caída del cabello).

¿Por qué se ha autorizado Joenja en la UE?

Joenja demostró ser eficaz para reducir la linfadenopatía y aumentar el número de linfocitos B no tratados previamente en las personas con APDS, lo que se espera que reduzca el riesgo de infección y otras complicaciones asociadas a la enfermedad. El perfil de seguridad se consideró aceptable, con efectos adversos generalmente manejables. La Agencia Europea de Medicamentos decidió por consiguiente que los beneficios de Joenja eran mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE.

Joenja se ha autorizado en «circunstancias excepcionales». Esto se debe a que no ha sido posible obtener información completa sobre Joenja debido a la rareza de la enfermedad. La compañía deberá presentar más datos sobre Joenja. Deberá presentar los resultados de un estudio basado en el registro sobre la seguridad y la eficacia a largo plazo de Joenja, y proporcionar actualizaciones anuales sobre cualquier nueva información relativa a la seguridad y la eficacia del medicamento. La Agencia revisará anualmente la información nueva que esté disponible.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Joenja?

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Joenja se han incluido en la Ficha Técnica o Resumen de las Características del Producto y en el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Joenja se controlan de forma continua. Los supuestos efectos adversos notificados de Joenja se evalúan cuidadosamente, y se adoptan las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

Otra información sobre Joenja

Puede encontrar más información sobre Joenja, incluidos el prospecto y el informe de evaluación, en el sitio web de la Agencia: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/joenja.

Si desea obtener información sobre la disponibilidad de este medicamento en su país, póngase en contacto con la [autoridad nacional competente](#) correspondiente.