



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Joenja (*leniolisiib*)

Lihtne ülevaade ravimist Joenja ja miks anti sellele ELis müügiluba

Mis on Joenja ja milleks seda kasutatakse?

Joenja on ravim, mida kasutatakse aktiveeritud fosfoinositiidi 3-kinaasi delta sündroomi (APDS) raviks täiskasvanutel ja vähemalt 12-aastastel noorukitel kehamassiga vähemalt 45 kg.

APDS on harvaesinev pärilik haigus, mille korral immuunsüsteem (organismi looduslikud kaitsemehhanismid) ei toimi normaalselt, mistõttu patsiendid on bakter- ja viirusinfektsioonidele vastuvõtlikumad. See seisund võib põhjustada ka autoimmuunhäireid ja lümfoomi (lümfootsüütide ehk teatud valgeliblede vähki).

APDS esineb harva ja Joenja nimetati 19. oktoobril 2020 harvikravimiks. Lisateave harvikravimiks nimetamise kohta on [EMA veebilehel](#).

Joenja sisaldab toimeainet leniolisiibi.

Kuidas Joenjat kasutatakse?

Joenja on retseptiravim. Ravi peab alustama primaarse immuunpuudulikkuse (kui immuunsüsteem ei toimi normaalselt) raviv arst.

Joenjat turustatakse suukaudsete tablettidena, mida võetakse kaks korda ööpäevas ligikaudu 12-tunnise vahega. Ravi jätkatakse seni, kuni see on patsiendile kasulik või kuni kõrvalnähud muutuvad talumatuks.

Lisateavet Joenja kasutamise kohta saate pakendi infolehel või küsige oma arstilt või apteekrilt.

Kuidas Joenja toimib?

APDS-iga inimestel on mutatsioonid (muutused) geenides, mis reguleerivad valgu fosfoinositiidi 3-kinaasi delta tootmist. See valk on oluline lümfootsüütide (B- ja T-rakkude) arenemiseks ja toimimiseks; lümfootsüütidel on immuunsüsteemis põhiroll. Mutatsioonid muudavad selle valgu liigaktiivseks, häirides lümfootsüütide normaalset arengut ja toimimist. Selle tagajärjel suureneb ebaküpsete B-rakkude sisaldus (need rakud kogunevad lümfisõlmedesse (lümfadenopaatia) ja elunditesse, näiteks põrna, maksa või kopsudesse) ning väheneb naiivsete B-rakkude (algses

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



immuunvastuses osalevate äsja moodustunud küpsete B-rakkude) sisaldus, mis mõjutab patsiendi võimet võidelda infektsioonidega.

Joenja toimeaine leniolisiib seondub fosfoinositiidi 3-kinaasi deltaga ja vähendab selle aktiivsust, tagades B- ja T-rakkude normaalse arengu ja toimimise.

Mis on uuringute põhjal Joenja kasulikkus?

Põhiuuringus osales 31 vähemalt 12-aastast APDS-iga patsienti, kes said haigussümptomite leevendamiseks kas Joenjat või platseebot (näiv ravim) koos standardraviga. Uuringus vaadeldi lümfadenopaatia taseme ja naiivsete B-rakkude sisalduse muutust pärast 12-nädalast ravi.

Joenjat kasutanud patsientidel vähenes lümfadenopaatia rohkem kui platseebopatsientidel, mis viitab lümfoproliferatsiooni (lümfotsüütide ebanormaalse tekke) vähenemisele. Lisaks suurenes Joenjat kasutanud patsientidel naiivsete B-rakkude sisaldus rohkem kui platseebopatsientidel, mis näitab, et B-rakkude areng võis normaliseeruda.

Joenjaga tehtud uuringuid kirjeldatakse üksikasjalikult ravimi hindamisaruandes.

Mis on Joenja kõrvalnähud ja piirangud?

Joenja kõrvalnähtude ja piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

Joenja kõige sagedamad kõrvalnähud (võivad esineda enam kui 1 patsiendil 10st) on näiteks neutrofiilide (teatud valgeliblede) sisalduse vähenemine, peavalu, oksendamine, kehakaalu suurenemine ja alopeetsia (juuste väljalangemine).

Miks Joenja ELis heaks kiideti?

Joenja oli tõendatult efektiivne lümfadenopaatia vähendamisel ja naiivsete B-rakkude arvu suurendamisel APDS-iga patsientidel, vähendades eeldatavasti infektsioonide ja muude selle seisundiga seotud tüsistuste riski. Ravimi ohutusprofiili peeti vastuvõetavaks ning kõrvalnähud olid üldiselt hallatavad. Euroopa Ravimiamet otsustas, et Joenja kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid ja ravimi kasutamise võib ELis heaks kiita.

Joenja on saanud müügiloa erandlikel asjaoludel. See tähendab, et harvaesineva haiguse tõttu ei olnud võimalik saada Joenja kohta täielikku teavet. Ettevõtte peab esitama Joenja kohta lisaandmeid. Esitada tuleb Joenja pikaajalist ohutust ja efektiivsust käsitleva registripõhise uuringu tulemused ning igal aastal tuleb anda ajakohastatud teavet ravimi ohutuse ja efektiivsuse kohta. Amet vaatab igal aastal läbi kogu uue teabe.

Mis meetmed võetakse, et tagada Joenja ohutu ja efektiivne kasutamine?

Joenja ohutu ja efektiivse kasutamise soovitused ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite korral, tehakse Joenja kasutamise kohta pidevat järelevalvet. Joenja oletatavaid teatatud kõrvalnähte hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks võetakse vajalikke meetmeid.

Muu teave Joenja kohta

Lisateave Joenja kohta, sealhulgas pakendi infoleht ja hindamisaruanne, on ameti veebilehel: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/joenja.

Kui soovite teada, kas seda ravimit turustatakse teie riigis, võtke ühendust [riikliku pädeva asutusega](#).