



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Joenja (*leniolisibi*)

Yleistajuiset yleistiedot Joenjasta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

### Mitä Joenja on ja mihin sitä käytetään?

Joenja on lääke, jota käytetään aktivoituneen fosfoinositidi-3-kinaasi delta -oireyhtymän (PI3K delta -oireyhtymä, APDS) hoitoon aikuisilla ja vähintään 12-vuotiailla nuorilla, jotka painavat vähintään 45 kg.

PI3K delta -oireyhtymä on harvinainen perinnöllinen sairaus, jossa immuunijärjestelmä (kehon luonnollinen puolustusmekanismi) ei toimi kunnolla, jolloin potilaat ovat alttiimpia bakteeri- ja virusinfektioille. Sairaus voi myös johtaa autoimmuunisairauksiin ja lymfoomaan (lymfosyyttien eli tietyntyyppisten valkosolujen syöpä).

PI3K delta -oireyhtymä on harvinainen sairaus, ja Joenja nimettiin ns. harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 19. lokakuuta 2020. Lisätietoa harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on EMAn [verkkosivustolla](#).

Joenjan vaikuttava aine on leniolisibi.

### Miten Joenjaa käytetään?

Lääkevalmistetta saa ainoastaan lääkärin määräyksestä. Hoidon aloittavalla lääkärillä on oltava kokemusta primaaristen immuunipuutosten hoidosta.

Joenjaa on saatavana tabletteina, jotka otetaan suun kautta kahdesti vuorokaudessa noin 12 tunnin välein. Hoitoa tulee jatkaa niin kauan kuin potilas hyötyy siitä tai kunnes potilas saa liiallisia haittavaikutuksia.

Lisätietoja Joenjan käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

---

**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



## Miten Joenja vaikuttaa?

PI3K delta -oireyhtymää sairastavilla potilailla on mutaatioita (muutoksia) geeneissä, jotka säätelevät fosfoinositidi 3-kinaasi delta -nimisen proteiinin tuotantoa. Tämä proteiini on välttämätön sellaisten lymfosyyttien (B- ja T-solujen) kehitykselle ja toiminnalle, joilla on keskeinen rooli immuunijärjestelmässä. Mutaatiot tekevät proteiinista yliaktiivisen ja häiritsevät lymfosyyttien normaalia kehitystä ja toimintaa. Tämän seurauksena imusolmukkeisiin (lymfadenopatia) ja elimiin, kuten pernaan, maksaan tai keuhkoihin, kertyvien epäkypsien B-solujen määrä suurenee. Lisäksi naiivien B-solujen (vasta muodostuneiden kypsien B-solujen, jotka osallistuvat ensimmäiseen immuunivasteeseen) määrä vähenee, mikä vaikuttaa potilaan kykyyn torjua infektioita.

Joenjan vaikuttava aine leniolisibi kiinnittyy fosfoinositidi-3-kinaasi deltaan ja vähentää sen aktiivisuutta, mikä johtaa B- ja T-solujen normaaliin kehittymiseen ja toimintaan.

## Mitä hyötyä Joenjasta on havaittu tutkimuksissa?

Yhteen päätutkimukseen osallistui 31 vähintään 12-vuotiasta PI3K delta -oireyhtymää sairastavaa potilasta, jotka saivat joko Joenjaa tai lumelääkettä yhdessä sairauden oireisiin tarkoitettun vakiohoidon kanssa. Tutkimuksessa tarkasteltiin lymfadenopatian määrän ja naiivien B-solujen osuuden muutosta 12 hoitoviikon jälkeen.

Joenjaa saaneilla potilailla lymfadenopatia väheni enemmän kuin lumelääkettä saaneilla, mikä viittaa lymfoproliferaation (lymfosyyttien epänormaalin tuotannon) vähenemiseen. Lisäksi naiivien B-solujen osuus Joenjaa saaneilla potilailla kasvoi enemmän kuin lumelääkettä saaneilla, mikä viittaa siihen, että B-solujen kehitys on saattanut normalisoitua.

Joenjalla tehtyjä tutkimuksia kuvataan tarkemmin lääkevalmisteen arviointiraportissa.

## Mitä haittavaikutuksia ja rajoituksia Joenjaan liittyy?

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Joenjan haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Joenjan yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat neutrofiilien (erääntyypisten valkosolujen) määrän väheneminen, päänsärky, oksentelu, painonnousu ja alopesia (hiustenlähtö).

## Miksi Joenja on hyväksytty EU:ssa?

Joenjan osoitettiin vähentävän tehokkaasti lymfadenopatiaa ja lisäävän naiivien B-solujen määrää PI3K delta -oireyhtymää sairastavilla potilailla, minkä odotetaan vähentävän infektioriskiä ja muita sairautteen liittyviä komplikaatioita. Turvallisuusprofiilia pidettiin hyväksyttävänä, ja haittavaikutukset olivat yleensä hallittavissa. Euroopan lääkevirasto katsoi näin ollen, että Joenjan hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Joenja on saanut myyntiluvan ns. poikkeusolosuhteissa. Tämä johtuu siitä, että sairauden harvinaisuuden vuoksi Joenjasta ei ole ollut mahdollista saada täydellisiä tietoja. Yhtiön on toimitettava lisätietoja Joenjasta. Sen on toimitettava Joenjan pitkäaikaista turvallisuutta ja tehoa koskevan rekisteripohjaisen tutkimuksen tulokset ja toimitettava vuosittain ajantasaiset tiedot kaikista uusista tiedoista, jotka koskevat lääkkeen turvallisuutta ja tehoa. Virasto arvioi vuosittain mahdollisesti saataville tulevat uudet tiedot.

## **Miten voidaan varmistaa Joenjan turvallinen ja tehokas käyttö?**

Suositukset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Joenjan käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät valmisteyhteenvedoon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Joenjan käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Joenjasta ilmoitetut epäillyt haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet tehdään potilaiden suojelemiseksi.

## **Muita tietoja Joenjasta**

Lisätietoja Joenjasta, mukaan lukien pakkausseloste ja arviointiraportti, on viraston verkkosivustolla osoitteessa [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/joenja](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/joenja).

Tietoa tämän lääkkeen saatavuudesta kussakin maassa saa ottamalla yhteyttä [kansalliseen toimivaltaiseen viranomaiseen](#).