



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Joenja (*léniolisib*)

Aperçu en langage clair de Joenja et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

### Qu'est-ce que Joenja et dans quel cas est-il utilisé?

Joenja est un médicament utilisé pour traiter les adultes et adolescents à partir de 12 ans pesant 45 kg et plus, atteints du syndrome de la phosphoinositide 3-kinase delta activée.

L'APDS est une maladie rare et héréditaire dans laquelle le système immunitaire (les défenses naturelles de l'organisme) ne fonctionne pas correctement, ce qui rend les patients plus sensibles aux infections bactériennes et virales. Cette affection peut également provoquer des maladies auto-immunes et un lymphome (cancer des lymphocytes, un type de globules blancs).

L'APDS est rare et Joenja a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 19 octobre 2020. Des informations complémentaires sur les désignations de médicaments orphelins sont disponibles sur le [site web de l'EMA](#).

Joenja contient la substance active léniolisib.

### Comment Joenja est-il utilisé?

Le médicament n'est délivré que sur ordonnance. Le traitement doit être instauré par un médecin expérimenté dans la prise en charge des déficits immunitaires primaires (lorsque le système immunitaire ne fonctionne pas correctement).

Joenja est disponible sous la forme de comprimés à prendre par voie orale deux fois par jour, à environ 12 heures d'intervalle. Le traitement doit être poursuivi aussi longtemps que le patient en retire un bénéfice ou jusqu'à ce que les effets indésirables deviennent intolérables.

Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation de Joenja, voir la notice ou contactez votre médecin ou votre pharmacien.

---

**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



## **Comment Joenja agit-il?**

Les personnes atteintes d'ADPS présentent des mutations (modifications) des gènes qui contrôlent la production d'une protéine appelée phosphoinositide 3-kinase delta. Cette protéine est essentielle au développement et au fonctionnement des lymphocytes (lymphocytes B et T), qui jouent un rôle clé dans le système immunitaire. Ces mutations entraînent une activité excessive de la protéine, ce qui interfère avec le développement normal et le fonctionnement normal des lymphocytes. Cela entraîne une augmentation des taux de lymphocytes B immatures qui s'accumulent dans les ganglions lymphatiques (lymphadénopathie) et des organes tels que la rate, le foie ou les poumons, et une diminution des taux de lymphocytes B naïfs (lymphocytes B matures nouvellement formés impliqués dans la réponse immunitaire initiale), affectant ainsi la capacité du patient à lutter contre les infections.

La substance active de Joenja, léniolisib, se fixe au phosphoinositide 3-kinase delta et réduit son activité, ce qui permet le développement normal et le fonctionnement normal des lymphocytes B et T.

## **Quels sont les bénéfices de Joenja démontrés au cours des études?**

Une étude principale a porté sur 31 personnes âgées de 12 ans et plus atteintes d'ADPS, ayant reçu soit Joenja, soit un placebo (un traitement fictif) ainsi qu'un traitement standard pour gérer les symptômes de la maladie. L'étude a examiné l'évolution du taux de lymphadénopathie et la proportion de lymphocytes B naïfs après 12 semaines de traitement.

La réduction de la lymphadénopathie était plus importante chez les personnes sous Joenja que chez celles sous placebo, ce qui indique une réduction de la lymphoprolifération (production anormale de lymphocytes). En outre, la proportion de lymphocytes B naïfs a augmenté davantage chez les personnes sous Joenja que chez celles sous placebo, ce qui montre une normalisation du développement de ces lymphocytes.

Les études réalisées avec Joenja sont décrites plus en détails dans le rapport d'évaluation du médicament.

## **Quels sont les effets indésirables et les restrictions associés à Joenja?**

Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions associés à Joenja, voir la notice.

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Joenja (qui peuvent toucher plus de une personne sur 10) sont notamment les suivants: diminution des taux de neutrophiles (un type de globules blancs), maux de tête, vomissements, prise de poids et alopecie (perte de cheveux).

## **Pourquoi Joenja est-il autorisé dans l'UE?**

Joenja s'est montré efficace dans la réduction de la lymphadénopathie et l'augmentation du nombre de lymphocytes B naïfs chez les personnes atteintes d'ADPS, ce qui devrait permettre de réduire le risque d'infection et d'autres complications associées à la maladie. Le profil de sécurité a été jugé acceptable, avec des effets indésirables généralement gérables. Par conséquent, l'Agence européenne des médicaments a estimé que les bénéfices de Joenja sont supérieurs à ses risques et que son utilisation peut être autorisée au sein de l'UE.

Une autorisation de mise sur le marché «dans des circonstances exceptionnelles» a été délivrée pour Joenja. En effet, il n'a pas été possible d'obtenir des informations complètes concernant Joenja en raison de la rareté de la maladie. La société doit fournir des données supplémentaires concernant Joenja. Elle doit présenter les résultats d'une étude de registre évaluant la sécurité et l'efficacité à long terme de Joenja et doit fournir des mises à jour annuelles sur toute nouvelle information concernant la sécurité et l'efficacité du médicament. Chaque année, l'Agence examinera toute nouvelle information disponible.

### **Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Joenja?**

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Joenja ont été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation de Joenja sont surveillées en permanence. Les effets indésirables suspectés rapportés avec Joenja sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

### **Autres informations relatives à Joenja:**

De plus amples informations sur Joenja, notamment la notice et le rapport d'évaluation, sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/joenja](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/joenja).

Pour obtenir des informations sur la disponibilité de ce médicament dans votre pays, contactez votre [autorité nationale compétente](#).