



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Joenja (*leniolisib*)

Pregled informacija o lijeku Joenja na jednostavnom jeziku i zašto je odobren u EU-u

Što je Joenja i za što se koristi?

Joenja je lijek koji se koristi za liječenje sindroma aktivirane fosfoinozimid 3-kinaze delta (engl. *activated phosphoinositide 3-kinase delta syndrome*, APDS) u odraslih osoba i adolescenata u dobi od 12 godina i starijih tjelesne težine 45 kg ili više.

APDS je rijetka, nasljedna bolest kod koje imunski sustav (prirodna obrana tijela) ne funkcionira pravilno, zbog čega su bolesnici podložniji bakterijskim i virusnim infekcijama. To stanje također može dovesti do autoimunih poremećaja i limfoma (raka limfocita, vrste bijelih krvnih stanica).

APDS je rijetka bolest, a lijek Joenja dobio je status „lijeka za rijetku bolest“ 19. listopada 2020. Više informacija o statusu lijekova za rijetke bolesti dostupno je na [mrežnom mjestu EMA-e](#).

Joenja sadrži djelatnu tvar leniolisib.

Kako se Joenja primjenjuje?

Lijek se izdaje samo na recept. Liječenje mora započeti liječnik s iskustvom u liječenju primarnih imunodeficijencija (kada imunološki sustav ne funkcionira pravilno).

Lijek Joenja dostupan je u obliku tableta koje se uzimaju kroz usta dvaput dnevno, u razmaku od otprilike 12 sati. Liječenje treba nastaviti sve dok bolesnik ima koristi od njega ili dok nuspojave ne postanu neprihvatljive.

Za više informacija o primjeni lijeka Joenja pročitajte uputu o lijeku odnosno obratite se liječniku ili ljekarniku.

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



Kako djeluje Joenja?

Osobe s APDS-om imaju mutacije (promjene) u genima koji kontroliraju proizvodnju proteina koji se naziva fosfoinozimid 3-kinaza delta. Taj je protein ključan za razvoj i funkcioniranje limfocita (B i T stanica), koji imaju ključnu ulogu u imunom sustavu. Mutacije čine protein prekomjerno aktivnim, čime se ometa normalan razvoj i funkcija limfocita. To dovodi do povećanih razina nezrelih B stanica koje se nakupljaju u limfnim čvorovima (limfadenopatija) i organima kao što su slezena, jetra ili pluća, kao i do smanjenih razina naivnih B stanica (novoformiranih zrelih B stanica uključenih u početni imunski odgovor), što utječe na sposobnost bolesnika da se bori protiv infekcija.

Djelatna tvar lijeka Joenja, leniolisib, veže se na fosfoinozimid 3-kinazu delta i smanjuje njegovu aktivnost, što dovodi do normalnog razvoja i funkcije B stanica i T stanica.

Koje su koristi od lijeka Joenja utvrđene u ispitivanjima?

Jedno glavno ispitivanje obuhvatilo je 31 osobu u dobi od 12 godina i više s APDS-om, koja je primala lijek Joenja ili placebo (prividno liječenje) zajedno sa standardnom terapijom radi kontrole simptoma bolesti. U ispitivanju se promatrala promjena razine limfadenopatije i udjela naivnih B stanica nakon 12 tjedana liječenja.

U osoba koje su uzimale lijek Joenja zabilježeno je veće smanjenje limfadenopatije u odnosu na osobe koje su uzimale placebo, što upućuje na smanjenje limfoproliferacije (abnormalne proizvodnje limfocita). Osim toga, došlo je do većeg povećanja udjela naivnih B stanica u osoba koje su uzimale lijek Joenja nego u osoba koje su primale placebo, što upućuje na to da se razvoj B stanica možda normalizirao.

Ispitivanja provedena s lijekom Joenja detaljnije su opisana u izvješću o procjeni lijeka.

Koje su nuspojave i ograničenja povezani s lijekom Joenja?

Potpuni popis nuspojava i ograničenja povezanih s lijekom Joenja potražite u uputi o lijeku.

Najčešće nuspojave lijeka Joenja (koje se mogu javiti u više od 1 na 10 osoba) uključuju smanjene razine neutrofila (vrste bijelih krvnih stanica), glavobolju, povraćanje, povećanu tjelesnu težinu i alopeciju (gubitak kose).

Zašto je lijek Joenja odobren u EU-u?

Lijek Joenja pokazao se učinkovitim u smanjenju limfadenopatije i povećanju broja naivnih B stanica u osoba s APDS-om te se očekuje da će smanjiti rizik od infekcije i drugih komplikacija povezanih s tom bolešću. Sigurnosni profil smatra se prihvatljivim uz nuspojave koje se općenito mogu kontrolirati. Europska agencija za lijekove stoga je zaključila da koristi od lijeka Joenja nadmašuju s njime povezane rizike te da lijek može biti odobren za primjenu u EU-u.

Lijek Joenja odobren je u „iznimnim okolnostima“. Razlog tome je nemogućnost dobivanja potpunih informacija o lijeku Joenja zbog male učestalosti bolesti. Tvrtka mora dostaviti dodatne podatke o lijeku Joenja. Mora dostaviti rezultate ispitivanja dugoročne sigurnosti i učinkovitosti lijeka Joenja koje se temelji na registru te svake godine dostaviti ažurirane informacije o svim novim podacima koji se odnose na sigurnost i učinkovitost lijeka. Svake će godine Europska agencija za lijekove procijeniti sve nove informacije koje postanu dostupne.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Joenja?

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Joenja nalaze se u sažetku opisa svojstava lijeka i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Joenja kontinuirano se prate. Sumnje na nuspojave prijavljene za lijek Joenja pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se sve potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

Ostale informacije o lijeku Joenja

Više informacija o lijeku Joenja, uključujući uputu o lijeku i izvješće o procjeni, dostupno je na mrežnom mjestu Agencije: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/joenja.

Za informacije o dostupnosti ovog lijeka u vašoj zemlji obratite se svojem [nadležnom nacionalnom tijelu](#).