



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Joenja (*leniolizib*)

A Joenja-ra vonatkozó közérthető áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer a Joenja és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Joenja felnőtteknél és legalább 45 kg testtömegű, 12 éves és idősebb serdülőknél az aktivált foszfoinozitud-3-kináz delta szindróma (APDS) kezelésére alkalmazott gyógyszer.

Az APDS egy ritka örökletes betegség, amelyre az jellemző, hogy az immunrendszer (a szervezet természetes védekező rendszere) nem működik megfelelően, így a betegek hajlamosabbak a bakteriális és vírusos fertőzésekre. A betegség autoimmun rendellenességekhez és limfómához (a fehérvérsejtek egy típusának, a limfocitáknak a daganatos betegsége) is vezethet.

Mivel az APDS „ritkának” minősül, ezért a Joenja-t 2020. október 19-én „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről az [EMA honlapján](#) található.

A Joenja hatóanyaga a leniolizib.

Hogyan kell alkalmazni a Joenja-t?

A gyógyszer csak receptre kapható. A kezelést az elsődleges immundeficienciák (amikor az immunrendszer nem működik megfelelően) kezelésében tapasztalt orvosnak kell megkezdenie.

A Joenja tabletták formájában kapható, amelyet szájon át, naponta kétszer, körülbelül 12 óra eltéréssel kell bevenni. A kezelést addig kell folytatni, amíg az a betegre kedvező hatással van, vagy amíg a mellékhatások elfogadhatatlanná nem válnak.

A Joenja alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

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



Hogyan fejti ki hatását a Joenja?

Az APDS-ben szenvedő betegeknél a foszfoinozítid-3-kináz delta nevű fehérje termelődését szabályozó génekben mutációk (elváltozások) mutatkoznak. Ez a fehérje nélkülözhetetlen az immunrendszerben kulcsszerepet játszó limfociták (B- és T-sejtek) fejlődéséhez és működéséhez. A mutációk túlzottan aktívvá teszik a fehérjét, ami befolyásolja a limfociták normális fejlődését és működését. Ez a nyirokcsomókban (limfadenopátia) és a szervekben, például a lépben, a májban vagy a tüdőben felhalmozódó éretlen B-sejtek magasabb szintjéhez, valamint a naiv B-sejtek (a kezdeti immunválaszban részt vevő, újonnan kialakult érett B-sejtek) alacsonyabb szintjéhez vezet, ami befolyásolja a beteg fertőzések elleni küzdelemre való képességét.

A Joenja hatóanyaga, a leniolizib a foszfoinozítid-3-kináz deltához kötődik, és csökkenti annak aktivitását, ami a B- és T-sejtek megfelelő fejlődéséhez és működéséhez vezet.

Milyen előnyei voltak a Joenja alkalmazásának a vizsgálatok során?

Egy fő vizsgálatban 31, 12 éves és idősebb, APDS-ben szenvedő beteg vett részt, akik a standard kezelés mellett Joenja-t vagy placebót (hatóanyag nélküli kezelés) kaptak a betegség tüneteinek kezelésére. A vizsgálatban a limfadenopátia szintjének és a naiv B-sejtek arányának változását tanulmányozták 12 hét kezelést követően.

A Joenja-t szedő betegeknél nagyobb mértékben csökkent a limfadenopátia, mint a placebóval kezeltéknél, ami a limfoproliferáció (a limfociták rendellenes termelődése) csökkenésére utal. Ezenkívül a Joenja-t szedőknél nagyobb mértékben nőtt a naiv B-sejtek aránya, mint a placebóval kezeltéknél, ami a B-sejtek fejlődésének normalizálódására utal.

A Joenja-val végzett vizsgálatok részletesebb leírása a gyógyszer értékelő jelentésében található.

Milyen mellékhatásokkal és korlátozásokkal jár a Joenja alkalmazása?

A Joenja alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

A Joenja leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a neutrofilek (a fehérvérsejtek egy típusa) szintjének csökkenése, a fejfájás, a hányás, a testtömeg növekedése és a hajhullás (alopécia).

Miért engedélyezték a Joenja forgalomba hozatalát az EU-ban?

A Joenja hatásosnak bizonyult APDS-ben szenvedő betegeknél a limfadenopátia mértékének csökkentésében és a naiv B-sejtek számának növelésében, ami várhatóan csökkenti a fertőzés és a betegséggel összefüggő egyéb szövődmények kockázatát. A biztonságossági profilt elfogadhatónak tartották, általában kezelhető mellékhatásokkal. Az Európai Gyógyszerügynökség ezért megállapította, hogy a Joenja alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, és így a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

A Joenja forgalomba hozatalát „kivételes körülmények” között engedélyezték. Ez azt jelenti, hogy a betegség alacsony előfordulási aránya miatt nem lehetett teljes körű információt gyűjteni a Joenja-ról. A vállalatnak további adatokat kell szolgáltatnia a Joenja-ra vonatkozóan. A vállalatnak be kell nyújtania egy, a Joenja hosszú távú biztonságosságára és hatásosságára vonatkozó, nyilvántartáson alapuló vizsgálat eredményeit, és évente naprakész tájékoztatást kell nyújtania a gyógyszer biztonságosságára és hatásosságára vonatkozó új információkról. Az Ügynökség évente felülvizsgál minden újonnan hozzáférhető információt.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Joenja biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Joenja biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Joenja alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. A Joenja alkalmazásával összefüggésben jelentett feltételezett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

A Joenja-val kapcsolatos egyéb információ

A Joenja-val kapcsolatban további információ, a betegtájékoztatót és az értékelő jelentést is beleértve, az Ügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/joenja.

Amennyiben tájékozódni szeretne arról, hogy a gyógyszer elérhető-e az Ön országában, vegye fel a kapcsolatot az [illetékes nemzeti hatósággal](#).