



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Joenja (*leniolisib*)

Sintesi in linguaggio semplice di Joenja e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Joenja e per cosa si usa?

Joenja è un medicinale utilizzato per trattare la sindrome da attivazione PI3K-delta (fosfoinositide-3-chinasi-delta, APDS) negli adulti e negli adolescenti a partire dai 12 anni di età e con un peso di almeno 45 kg.

L'APDS è una malattia rara ed ereditaria in cui il sistema immunitario (le difese naturali dell'organismo) non funziona correttamente, rendendo i pazienti più suscettibili alle infezioni batteriche e virali. La malattia può portare anche a disturbi autoimmuni e linfoma (cancro dei linfociti, un tipo di globuli bianchi).

L'APDS è rara e Joenja è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 19 ottobre 2020. Ulteriori informazioni sulla qualifica di medicinale orfano sono disponibili sul [sito web](#) dell'EMA.

Joenja contiene il principio attivo leniolisib.

Come si usa Joenja?

Il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica. Il trattamento deve essere iniziato da un medico esperto nella gestione delle deficienze immunitarie primarie (quando il sistema immunitario non funziona correttamente).

Joenja è disponibile sotto forma di compresse rivestite con film da assumere per via orale due volte al giorno, a circa 12 ore di distanza. Il trattamento deve essere continuato fintanto che il paziente ne trae beneficio o fino a quando gli effetti indesiderati non diventano inaccettabili.

Per maggiori informazioni sull'uso di Joenja, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

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



Come agisce Joenja?

Le persone con APDS presentano mutazioni (alterazioni) nei geni che controllano la produzione di una proteina denominata fosfoinositide-3-chinasi-delta. Questa proteina è essenziale per lo sviluppo e la funzione dei linfociti (cellule B e T), che svolgono un ruolo fondamentale nel sistema immunitario. Le mutazioni rendono la proteina iperattiva, interferendo con il normale sviluppo e la normale funzione dei linfociti. Ciò porta a livelli aumentati di cellule B immature che si accumulano nei linfonodi (linfadenopatia) e in organi come la milza, il fegato o i polmoni, nonché a livelli ridotti di cellule B naïve (cellule B mature di nuova formazione coinvolte nella risposta immunitaria iniziale), con conseguente compromissione della capacità del paziente di combattere le infezioni.

Il principio attivo di Joenja, leniolisib, si lega alla fosfoinositide-3-chinasi-delta e ne riduce l'attività, favorendo il normale sviluppo e la normale funzione delle cellule B e T.

Quali benefici di Joenja sono stati evidenziati negli studi?

Uno studio principale è stato condotto su 31 persone a partire dai 12 anni di età con APDS, che hanno ricevuto Joenja o placebo (un trattamento fittizio), insieme al trattamento standard per la gestione dei sintomi della malattia. Lo studio ha esaminato la variazione del livello di linfadenopatia e la proporzione di cellule B naïve dopo 12 settimane di trattamento.

Le persone che assumevano Joenja hanno registrato una riduzione maggiore della linfadenopatia rispetto a quelle che assumevano il placebo, indicante una diminuzione della linfoproliferazione (produzione anomala di linfociti). Inoltre, nelle persone che assumevano Joenja è stato osservato un aumento maggiore della proporzione di cellule B naïve rispetto a quelle trattate con placebo, indicante una possibile normalizzazione dello sviluppo delle cellule B.

Gli studi effettuati con Joenja sono descritti più dettagliatamente nella relazione di valutazione del medicinale.

Quali sono gli effetti indesiderati e le limitazioni di Joenja?

Per l'elenco completo delle limitazioni e degli effetti indesiderati rilevati con Joenja, vedere il foglio illustrativo.

Gli effetti indesiderati più comuni di Joenja (che possono riguardare più di 1 persona su 10) comprendono livelli diminuiti dei neutrofili (un tipo di globuli bianchi), cefalea, vomito, aumento ponderale e alopecia (perdita di capelli).

Perché Joenja è autorizzato nell'UE?

Joenja si è dimostrato efficace nel ridurre la linfadenopatia e nell'aumentare il numero di cellule B naïve nelle persone con APDS, effetto che dovrebbe ridurre il rischio di infezione e di altre complicanze associate alla malattia. Il profilo di sicurezza è stato considerato accettabile, con effetti indesiderati generalmente gestibili. L'Agenzia europea per i medicinali ha pertanto deciso che i benefici di Joenja sono superiori ai rischi e che il suo uso può essere autorizzato nell'UE.

Joenja è stato autorizzato in "circostanze eccezionali" perché non è stato possibile ottenere informazioni complete sul medicinale a causa della rarità della malattia. La ditta è tenuta a fornire ulteriori dati su Joenja. Deve presentare i risultati di uno studio basato su un registro sulla sicurezza e sull'efficacia a lungo termine di Joenja e deve fornire aggiornamenti annuali su qualsiasi nuova informazione riguardante la sicurezza e l'efficacia del medicinale. Ogni anno l'Agenzia esaminerà le nuove informazioni disponibili.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Joenja?

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Joenja sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Joenja sono costantemente monitorati. I presunti effetti indesiderati riportati con Joenja sono valutati attentamente e si intraprendono tutte le azioni necessarie per salvaguardare i pazienti.

Altre informazioni su Joenja

Ulteriori informazioni su Joenja, compresi il foglio illustrativo e la relazione di valutazione, sono disponibili sul sito web dell'Agenzia: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/joenja.

Per informazioni sulla disponibilità di questo medicinale nel proprio paese, contattare l'[autorità nazionale competente](#).