



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Joenja (*leniolisibs*)

Pārskats vienkāršā valodā par *Joenja* un kāpēc tās ir reģistrētas ES

Kas ir *Joenja* un kāpēc tās lieto?

Joenja ir zāles, ko lieto aktivētā fosfoinozītīda 3-kināzes delta sindroma (*APDS*) ārstēšanai pieaugušajiem un pusaudžiem no 12 gadu vecuma, kuru ķermeņa masa ir 45 kg vai vairāk.

APDS ir reta, pārmantota slimība, kuras gadījumā imūnsistēma (organisma dabiskā aizsargsistēma) nedarbojas pienācīgi, padarot pacientus uzņēmīgākus pret bakteriālām un vīrusu infekcijām. Šī slimība var izraisīt arī autoimūnus traucējumus un limfomu (limfocītu, balto asins šūnu veids, vēzis).

APDS ir "reta" slimība, un 2020. gada 19. oktobrī *Joenja* tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss. Sīkāka informācija par retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodama [EMA tīmekļa vietnē](#).

Joenja satur aktīvo vielu leniolisibu.

Kā lieto *Joenja*?

Šīs zāles var iegādāties tikai pret recepti. Ārstēšana jāuzsāk ārstam ar pieredzi primāro imūndeficītu ārstēšanā (kad imūnsistēma nedarbojas pareizi).

Joenja ir pieejamas tablešu veidā, kas jālieto iekšķīgi divas reizes dienā ar aptuveni 12 stundu intervālu. Ārstēšana jāturpina tik ilgi, kamēr pacients no tās gūst labumu, vai līdz brīdim, kad blakusparādības kļūst nepieņemamas.

Papildu informāciju par *Joenja* lietošanu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā vai jautāt ārstam vai farmaceitam.

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



Kā Joenja darbojas?

Cilvēkiem ar *APDS* ir mutācijas (izmaiņas) gēnos, kas kontrolē olbaltumvielas, ko dēvē par fosfinositīda 3-kināzes deltu, ražošanu. Šī olbaltumviela ir būtiska limfocītu (B un T šūnu) attīstībai un darbībai, kuriem ir svarīga nozīme imūnsistēmā. Mutācijas padara olbaltumvielu pārmērīgi aktīvu, traucējot limfocītu normālu attīstību un darbību. Rezultātā paaugstinās nenobriedušu B šūnu, kas uzkrājas limfmezglos (limfadenopātija) un orgānos, piemēram, liesā, aknās vai plaušās, līmenis, kā arī samazinās agrāk neizmantotu B šūnu (no jauna izveidotu nobriedušu B šūnu, kas iesaistītas sākotnējā imūnreakcijā) līmenis, kas ietekmē pacienta organisma spēju cīnīties pret infekcijām.

Joenja aktīvā viela leniolisibs piesaistās fosfinositīda 3-kināzes deltai un samazina tās aktivitāti, izraisot B un T šūnu normālu attīstību un darbību.

Kādi Joenja ieguvumi atklāti pētījumos?

Vienā pamatpētījumā piedalījās 31 cilvēks no 12 gadu vecuma ar *APDS*, kuri saņēma vai nu *Joenja*, vai placebo (fiktīvu ārstēšanu) kopā ar standarta terapiju slimības simptomu ārstēšanai. Pētījumā aplūkoja limfadenopātijas līmeņa un naivo B šūnu īpatsvara izmaiņas pēc 12 ārstēšanas nedēļām.

Pacientiem, kuri lietoja *Joenja*, limfadenopātija samazinājās vairāk nekā tiem, kuri lietoja placebo, un tas liecina par limfoprolifērijas samazināšanos (patoloģisku limfocītu veidošanos). Turklāt pacientiem, kuri lietoja *Joenja*, bija lielāks naivo B šūnu īpatsvara pieaugums nekā tiem, kuri lietoja placebo, kas liecina par iespējamu B šūnu attīstības normalizēšanos.

Pētījumi, kas veikti ar *Joenja*, ir sīkāk aprakstīti zāļu novērtējuma ziņojumā.

Kādas ir Joenja blakusparādības un ierobežojumi?

Pilnu visu ziņoto blakusparādību un ierobežojumu sarakstu, lietojot *Joenja*, skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Visbiežākās *Joenja* blakusparādības (kas var rasties vairāk nekā 1 no 10 cilvēkiem) ir samazināts neitrofilu (balto asins šūnu veida) līmenis, galvassāpes, vemšana, svara palielināšanās un alopēcija (matu izkrišana).

Kāpēc Joenja ir reģistrētas ES?

Tika pierādīts, ka *Joenja* efektīvi samazina limfadenopātiju un palielina naivo B šūnu skaitu cilvēkiem ar *APDS*, un paredzams, ka tas samazinās infekcijas un citu ar šo slimību saistītu komplikāciju risku. Drošuma profils tika uzskatīts par pieņemamu, un kopumā blakusparādības bija kontrolējamas. Tādēļ Eiropas Zāļu aģentūra nolēma, ka ieguvums, lietojot *Joenja*, pārsniedz šo zāļu radīto risku un zāles var reģistrēt lietošanai ES.

Joenja ir reģistrētas "izņēmuma kārtā". Tas nozīmē, ka sakarā ar šīs slimības retumu nav bijis iespējams iegūt pilnīgu informāciju par *Joenja*. Uzņēmumam jāsniedz papildu dati par *Joenja*. Tai jāiesniedz rezultāti, kas iegūti uz reģistru balstītā pētījumā par *Joenja* ilgtermiņa drošumu un efektivitāti, un katru gadu jāsniedz jaunākā informācija par zāļu drošumu un efektivitāti. Aģentūra katru gadu pārbaudīs visu jauniegūto informāciju.

Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Joenja* lietošanu?

Zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Joenja* lietošanu.

Tāpat kā par visām zālēm, dati par *Joenja* lietošanu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Ziņotās ar *Joenja* lietošanu saistītās iespējamās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai nepieciešamie pasākumi.

Cita informācija par *Joenja*

Sīkāka informācija par *Joenja*, tostarp lietošanas instrukcija un novērtējuma ziņojums, ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/joenja.

Lai iegūtu informāciju par šo zāļu pieejamību jūsu valstī, sazinieties ar attiecīgās [valsts kompetento iestādi](#).