



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Joenna (*leniolisib*)

Ħarsa ġenerali b'lingwaġg sempliċi lejn Joenna u għalfajn huwa awtorizzat fl-UE

X'inhu Joenna u għal xiex jintuża?

Joenna huwa mediċina li tintuża għat-trattament tas-sindromu phosphoinositide 3-kinase delta attiv (activated phosphoinositide 3-kinase delta syndrome, APDS) f'adulti u adolexxenti minn 12-il sena 'l fuq u li jiżnu 45 kg jew aktar.

L-APDS hija marda rari li tintiret fejn is-sistema immunitarja (id-difiżi naturali tal-ġisem) ma taħdimx tajjeb, u b'hekk tagħmel lill-pazjenti aktar suxxettibbli għal infezzjonijiet batteriċi u virali. Il-kundizzjoni tista' twassal ukoll għal disturbi awtoimmunitarji u limfoma (kanċer tal-limfoċiti, tip ta' ċelloli bojod tad-demem).

L-APDS hija rari, u Joenna ġie denominat bħala "mediċina orfni" (mediċina li tintuża f'mard rari) fid-19 ta' Ottubru 2020. Aktar informazzjoni dwar id-denominazzjonijiet orfni tinstab fuq is-[sit web](#) tal-EMA.

Joenna fih is-sustanza attiva leniolisib.

Kif jintuża Joenna?

Il-mediċina tista' tinkiseb biss b'riċetta ta' tabib. It-trattament għandu jinbeda minn tabib b'esperjenza fil-ġestjoni ta' nuqqasijiet immunitarji primarji (meta s-sistema immunitarja ma taħdimx kif suppost).

Joenna jiġi bħala pilloli li għandhom jittieħdu mill-ħalq darbtejn kuljum, b'madwar 12-il siegħa bejniethom. It-trattament għandu jtkompla sakemm il-pazjent jibqa' jibbenefika minnu jew sakemm l-effetti sekondarji ma jibqgħux aċċettabbli.

Għal aktar informazzjoni dwar l-użu ta' Joenna, ara l-fuljett ta' tagħrif jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispizjar tiegħek.

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



Kif jaħdem Joenja?

Persuni b'APDS għandhom mutazzjonijiet (bidliet) fil-ġeni li jikkontrollaw il-produzzjoni ta' proteina msejja phosphoinositide 3-kinase delta. Din il-proteina hija essenzjali għall-iżvilupp u l-funzjoni tal-limfoċiti (ċelloli B u T), li għandhom rwol ewlieni fis-sistema immunitarja. Il-mutazzjonijiet jagħmlu l-proteina attiva żżejjed, u jinterferixxu mal-iżvilupp u l-funzjoni normali tal-limfoċiti. Dan iwassal għal livelli oġġla ta' ċelloli B immaturi li jakkumulaw fin-noduli limfatiċi (limfadenopatija) u fl-organi bħall-milsa, il-fwied jew il-pulmuni, kif ukoll livelli mnaqqs ta' ċelloli B naïve (ċelloli B maturi li għadhom kif ġew iffurmati involuti fir-rispons immuni inizjali), li jaffettwaw il-ħila tal-pazjent li jiġġieled l-infezzjonijiet.

Is-sustanza attiva f'Joenja, il-leniolisib, teħel mal-phosphoinositide 3-kinase delta u tnaqqas l-attività tagħha, li twassal għall-iżvilupp u l-funzjoni normali taċ-ċelloli B u T.

X'inhuma l-benefiċċji ta' Joenja li ħarġu mill-istudji?

Studju ewlieni involva 31 persuna minn 12-il sena 'l fuq b'APDS, li ngħataw jew Joenja jew placebo (trattament finta) flimkien ma' trattament standard biex jiġu ġestiti s-sintomi tal-kundizzjoni. L-istudju eżamina l-bidla fil-livell ta' limfadenopatija u fil-proporzjon ta' ċelloli B li qatt ma kienu ħadu qabel wara 12-il ġimgħa ta' trattament.

Il-persuni li kienu qed jieħdu Joenja kellhom tnaqqis akbar fil-limfadenopatija minn dawk li kienu qed jieħdu placebo, u dan jindika tnaqqis fil-limfoproliferazzjoni (produzzjoni anormali ta' limfoċiti). Barra minn hekk, kien hemm żieda akbar fil-proporzjon ta' ċelloli B li qatt ma kienu ħadu qabel f'persuni li kienu qegħdin jieħdu Joenja milli f'dawk li ngħataw placebo, li jindika li l-iżvilupp taċ-ċelloli B seta' ġie normalizzat.

L-istudji li twettqu b'Joenja huma deskritti f'aktar dettall fir-rapport ta' valutazzjoni tal-medicina.

X'inhuma l-effetti sekondarji u r-restrizzjonijiet b'Joenja?

Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji u r-restrizzjonijiet b'Joenja, ara l-fuljett ta' tagħrif.

L-effetti sekondarji l-aktar komuni b'Joenja (li jistgħu jaffettwaw aktar minn persuna 1 minn kull 10) jinkludu livelli mnaqqs ta' newtrofili (tip ta' ċellola bajda tad-demem), uġiġħ ta' ras, remettar, żieda fil-piż u alopeċja (telf ta' xagħar).

Għaliex Joenja ġie awtorizzat fl-UE?

Joenja ntwera li huwa effettiv fit-tnaqqis tal-limfadenopatija u fiż-żieda tal-għadd ta' ċelloli B naïve f'persuni b'APDS, li huwa mistenni li jnaqqas ir-riskju ta' infezzjoni u kumplikazzjonijiet oħra assoċjati mal-kundizzjoni. Il-profil tas-sigurtà kien ikkunsidrat aċċettabbli, b'effetti sekondarji li ġeneralment jistgħu jiġu mmaniġġjati. L-Aġenzija Ewropea għall-Medicini għaldaqstant iddeċidiet li l-benefiċċji ta' Joenja huma akbar mir-riskji tiegħu u li jista' jiġi awtorizzat għall-użu fl-UE.

Joenja ġie awtorizzat taħt "ċirkostanzi ta' eċċezzjoni". Dan minħabba li ma kienx possibbli li tinkiseb informazzjoni kompluta dwar Joenja minħabba r-rarità tal-marda. Il-kumpanija għandha tipprovdi aktar *data* dwar Joenja. Għandha tissottometti r-riżultati minn studju bbażat fuq ir-reġistru dwar is-sigurtà u l-effikaċja fit-tul ta' Joenja, u għandha tipprovdi aġġornamenti annwali dwar kwalunkwe informazzjoni ġdida li tikkonċerna s-sigurtà u l-effikaċja tal-medicina. Kull sena, l-Aġenzija tirrieżamina kwalunkwe informazzjoni ġdida li ssir disponibbli.

X'miżuri qegħdin jittieħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Joenja?

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif ġew inklużi r-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzzjonijiet li għandhom ikunu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Joenja.

Bħal fil-każ tal-mediċini kollha, id-*data* dwar l-użu ta' Joenja hija ssorveljata kontinwament. L-effetti sekondarji ssuspettati rrapportati b'Joenja jiġu evalwati bir-reqqa u kull azzjoni meħtieġa hi meħuda biex tipproteġi lill-pazjenti.

Informazzjoni oħra dwar Joenja

Aktar informazzjoni dwar Joenja, inkluż il-fuljett ta' tagħrif u r-rapport ta' valutazzjoni, tinstab fuq is-sit web tal-Aġenzija: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/joenja.

Għal informazzjoni dwar id-disponibbiltà ta' din il-mediċina f'pajjiżek, ikkuntattja lill-[awtorità nazzjonali kompetenti](#) tiegħek.