



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Joenja (*leniolisib*)

Een overzicht in begrijpelijke taal van Joenja en waarom het is geregistreerd in de EU

Wat is Joenja en wanneer wordt het voorgeschreven?

Joenja is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor de behandeling van geactiveerd fosfo-inositide 3-kinase delta-syndroom (APDS) bij volwassenen en jongeren vanaf 12 jaar met een gewicht van 45 kg of meer.

APDS is een zeldzame erfelijke ziekte waarbij het immuunsysteem (de natuurlijke afweer van het lichaam) niet naar behoren werkt, waardoor patiënten vatbaarder worden voor bacteriële en virale infecties. De aandoening kan ook leiden tot auto-immuunstoornissen en lymfoom (kanker van lymfocyten, een type witte bloedcellen).

APDS is zeldzaam, en Joenja werd op 19 oktober 2020 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel is te vinden op de [website van het Europees Geneesmiddelenbureau](#).

Joenja bevat de werkzame stof leniolisib.

Hoe wordt Joenja gebruikt?

Dit geneesmiddel is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar. De behandeling moet worden gestart door een arts die ervaring heeft met de behandeling van primaire immuunstoornissen (aandoeningen waarbij het immuunsysteem niet naar behoren werkt).

Joenja is verkrijgbaar in de vorm van tabletten die tweemaal daags via de mond moeten worden ingenomen, met een tussenpoos van ongeveer 12 uur. De behandeling dient te worden voortgezet zolang de patiënt er baat bij heeft of totdat de bijwerkingen onbeheersbaar worden.

Raadpleeg de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Joenja.

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



Hoe werkt Joenja?

Mensen met APDS hebben mutaties (veranderingen) in de genen die de aanmaak van het eiwit fosfo-inositide 3-kinase-delta regelen. Dit eiwit is essentieel voor de ontwikkeling en werking van lymfocyten (B- en T-cellen), die een belangrijke rol spelen in het immuunsysteem. De mutaties maken het eiwit overactief, waardoor de normale ontwikkeling en functie van lymfocyten wordt verstoord. Dit leidt tot verhoogde concentraties onvolgroeide B-cellen die zich ophopen in de lymfeklieren (gezwollen lymfeklieren of lymfadenopathie) en in organen zoals de milt, de lever of de longen, en tot verlaagde concentraties naïeve B-cellen (pas gevormde volwassen B-cellen die betrokken zijn bij de initiële immuunrespons), wat van invloed is op het vermogen van de patiënt om infecties te bestrijden.

De werkzame stof in Joenja, leniolisib, hecht zich aan fosfo-inositide 3-kinase delta en remt de activiteit ervan, waardoor B- en T-cellen zich normaal kunnen ontwikkelen en normaal kunnen werken.

Welke voordelen bleek Joenja tijdens de studies te hebben?

Bij één hoofdstudie waren 31 personen vanaf twaalf jaar met APDS betrokken die ofwel Joenja ofwel placebo (een schijnbehandeling) kregen, in combinatie met een standaardbehandeling om de symptomen van de aandoening te behandelen. In de studie werd gekeken naar de verandering in de mate van zwelling van de lymfeklieren en in het percentage naïeve B-cellen na 12 weken behandeling.

Bij personen die Joenja kregen, nam de zwelling van de lymfeklieren sterker af dan bij degenen die placebo kregen, wat wijst op een afname van de lymfoproliferatie (abnormale productie van lymfocyten). Bovendien nam het aandeel naïeve B-cellen bij mensen die Joenja kregen meer toe dan bij degenen die placebo kregen, wat een teken kan zijn dat de ontwikkeling van B-cellen is genormaliseerd.

De studies waaraan Joenja is onderworpen, worden nader beschreven in het beoordelingsrapport van het geneesmiddel.

Wat zijn de bijwerkingen van en beperkingen voor Joenja?

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van alle bijwerkingen van en beperkende voorwaarden voor Joenja.

De meest voorkomende bijwerkingen van Joenja (die bij meer dan 1 op de 10 personen kunnen optreden) zijn een verlaagd aantal neutrofielen (een soort witte bloedcellen), hoofdpijn, braken, gewichtstoename en alopecia (haaruitval).

Waarom is Joenja geregistreerd in de EU?

Joenja bleek werkzaam te zijn bij het verminderen van de zwelling van de lymfeklieren en het verhogen van het aantal naïeve B-cellen bij mensen met APDS, wat naar verwachting het risico op infectie en andere complicaties in verband met de aandoening zal verminderen. Het veiligheidsprofiel werd aanvaardbaar geacht en de bijwerkingen waren over het algemeen beheersbaar. Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft daarom geconcludeerd dat de voordelen van Joenja groter zijn dan de risico's en dat dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU.

Joenja is goedgekeurd 'onder uitzonderlijke omstandigheden'. Dit betekent dat het wegens de zeldzaamheid van de aandoening niet mogelijk was om volledige informatie over Joenja te verkrijgen. Het bedrijf moet nadere gegevens over Joenja verstrekken. Het moet de resultaten overleggen van een registergebaseerd onderzoek naar de veiligheid en werkzaamheid van Joenja op lange termijn en moet jaarlijkse updates verstrekken over eventuele nieuwe informatie over de veiligheid en werkzaamheid van het geneesmiddel. Het Geneesmiddelenbureau zal jaarlijks eventuele nieuw beschikbare informatie beoordelen.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Joenja te waarborgen?

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Joenja, zijn opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Joenja continu gevolgd. Vermoedelijke bijwerkingen waargenomen voor Joenja worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig worden maatregelen getroffen om patiënten te beschermen.

Overige informatie over Joenja

Meer informatie over Joenja, waaronder de bijsluiter en het beoordelingsrapport, is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/joenja.

Voor informatie over de beschikbaarheid van dit geneesmiddel in uw land kunt u contact opnemen met uw [nationale bevoegde instantie](#).