



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Joenja (*leniolisib*)

Przegląd wiedzy na temat leku Joenja i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE w przystępnym języku

Czym jest lek Joenja i w jakim celu się go stosuje

Joenja jest lekiem stosowanym w leczeniu zespołu aktywowanej kinazy 3-fosfatydyloinozytolu delta (ang. *activated phosphoinositide 3-kinase delta syndrome*, APDS) u osób dorosłych i młodzieży w wieku 12 lat i starszych, o masie ciała wynoszącej co najmniej 45 kg.

APDS jest rzadką chorobą dziedziczną, w przebiegu której układ odpornościowy (naturalny system obronny organizmu) nie działa prawidłowo, co zwiększa podatność pacjentów na zakażenia bakteryjne i wirusowe. Choroba może również prowadzić do zaburzeń autoimmunologicznych i rozwoju chłoniaka (nowotworu limfocytów, rodzaju białych krwinek).

Ze względu na to, że APDS jest chorobą rzadko występującą, w dniu 19 października 2020 r. lek Joenja uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji o przyznaniu statusu leku sierocznego można znaleźć na [stronie internetowej](#) EMA.

Substancją czynną zawartą w leku Joenja jest leniolisib.

Jak stosować lek Joenja

Lek wydawany na receptę. Leczenie powinien rozpoczynać lekarz mający doświadczenie w leczeniu pierwotnych niedoborów immunologicznych (nieprawidłowego działania układu odpornościowego).

Lek Joenja jest dostępny w postaci tabletek do przyjmowania doustnego dwa razy na dobę, w odstępie około 12 godzin. Leczenie należy kontynuować, dopóki pacjent odnosi z niego korzyści lub do czasu wystąpienia niedopuszczalnych działań niepożądanych.

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Joenja znajduje się w ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

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



Jak działa lek Joenja

U osób z APDS występują mutacje (zmiany) w genach kontrolujących wytwarzanie białka zwanego kinaza 3-fosfatydyloinozytolu delta. Białko to ma zasadnicze znaczenie dla rozwoju i funkcjonowania limfocytów (komórek B i T), które odgrywają kluczową rolę w układzie odpornościowym. Mutacje te sprawiają, że białko jest zbyt aktywne, co zakłóca prawidłowy rozwój i funkcjonowanie limfocytów. Prowadzi to do zwiększenia liczby niedojrzałych limfocytów B, które gromadzą się w węzłach chłonnych (powodując limfadenopatię) oraz w narządach takich jak śledziona, wątroba i płuca. Jednocześnie dochodzi do zmniejszenia liczby naiwnych limfocytów B (nowo powstałych dojrzałych limfocytów B uczestniczących w pierwotnej odpowiedzi immunologicznej), co osłabia zdolność organizmu pacjenta do skutecznego zwalczania zakażeń.

Substancja czynna leku Joenja, leniolisib, przyłącza się do kinazy fosfoinozytydu-3 delta i zmniejsza jego aktywność, co prowadzi do prawidłowego rozwoju i funkcjonowania limfocytów B i T.

Korzyści ze stosowania leku Joenja wykazane w badaniach

W jednym badaniu głównym uczestniczyło 31 osób w wieku od 12 lat z APDS, które otrzymywały albo lek Joenja, albo placebo (leczenie pozorowane) wraz ze standardowym leczeniem w celu opanowania objawów choroby. W badaniu oceniano zmianę poziomu limfadenopatii i odsetka naiwnych limfocytów B po 12 tygodniach leczenia.

U osób przyjmujących lek Joenja zaobserwowano znacznie większe zmniejszenie limfadenopatii niż u osób otrzymujących placebo, co wskazuje na ograniczenie limfoproliferacji (nieprawidłowego namnażania limfocytów). Ponadto u osób przyjmujących lek Joenja odnotowano większy wzrost odsetka naiwnych limfocytów B niż u osób otrzymujących placebo, co wskazuje, że rozwój limfocytów B mógł ulec normalizacji.

Badania dotyczące leku Joenja opisano bardziej szczegółowo w sprawozdaniu oceniającym lek.

Działania niepożądane i ograniczenia związane ze stosowaniem leku Joenja

Pełny wykaz działań niepożądanych i ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Joenja znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Joenja (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów) to: obniżenie liczby neutrofilii (rodzaju białych krwinek), ból głowy, wymioty, zwiększona waga i łysienie (utrata włosów).

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Joenja w UE

Wykazano, że lek Joenja skutecznie zmniejsza limfadenopatię i zwiększa liczbę naiwnych limfocytów B u osób z APDS. Należy się spodziewać, że ograniczy to ryzyko zakażenia i innych powikłań związanych z tą chorobą. Profil bezpieczeństwa uznano za akceptowalny, przy czym działania niepożądane były na ogół możliwe do kontrolowania. Europejska Agencja Leków uznała zatem, że korzyści ze stosowania leku Joenja przewyższają ryzyko i że może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Lek Joenja dopuszczono do obrotu w „wyjątkowych okolicznościach”. Wynika to z faktu, że nie można było uzyskać pełnych informacji o leku Joenja z uwagi na rzadkie występowanie choroby. Firma musi dostarczyć dodatkowe dane dotyczące leku Joenja. Musi ona przedstawić wyniki badania opartego na rejestrze, dotyczącego długoterminowego bezpieczeństwa stosowania i skuteczności leku Joenja, a także przedstawiać coroczne aktualizacje wszelkich nowych informacji dotyczących bezpieczeństwa stosowania i skuteczności leku. Co roku Agencja dokona przeglądu wszelkich nowych informacji, które będą dostępne.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Joenja

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Joenja w charakterystyce produktu leczniczego i w ulotce dla pacjenta zawarto zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Joenja są stale monitorowane. Podejrzewane działania niepożądane leku Joenja są starannie oceniane i podejmowane są wszelkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje o leku Joenja

Dalsze informacje o leku Joenja, w tym ulotka dla pacjenta i sprawozdanie oceniające, znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/joenja.

W celu uzyskania informacji o dostępności tego leku w danym kraju należy skontaktować się z [właściwym organem krajowym](#).