



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Joenja (*leniolisib*)

Um resumo em linguagem simples sobre Joenja e por que está autorizado na UE

### O que é Joenja e para que é utilizado?

Joenja é um medicamento utilizado no tratamento da síndrome de fosfoinositídeo 3-quinase delta ativada (APDS) em adultos e adolescentes a partir dos 12 anos de idade e com peso igual ou superior a 45 kg.

A APDS é uma doença rara e hereditária na qual o sistema imunitário (as defesas naturais do organismo) não funciona adequadamente, tornando os doentes mais suscetíveis a infeções bacterianas e virais. A doença pode também conduzir a doenças autoimunes e ao linfoma (cancro dos linfócitos, um tipo de glóbulos brancos).

A APDS é uma doença rara, e Joenja foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) a 19 de outubro de 2020. Mais informações sobre a designação de medicamento órfão podem ser encontradas no [sítio Web da EMA](#).

Joenja contém a substância ativa leniolisib.

### Como se utiliza Joenja?

O medicamento só pode ser obtido mediante receita médica. O tratamento deve ser iniciado por um médico com experiência no tratamento de deficiências imunitárias primárias (quando o sistema imunitário não funciona corretamente).

Joenja está disponível na forma de comprimidos a tomar por via oral duas vezes por dia, com um intervalo de aproximadamente 12 horas. O tratamento deve ser continuado enquanto se observar um benefício clínico para o doente ou até os efeitos secundários deixarem de ser controláveis.

Para mais informações sobre a utilização de Joenja, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## Como funciona Joenja?

As pessoas com APDS têm mutações (alterações) nos genes que controlam a produção de uma proteína denominada fosfoinosítídeo 3-quinase delta. Esta proteína é essencial para o desenvolvimento e a função dos linfócitos (células B e T), que desempenham um papel fundamental no sistema imunitário. As mutações tornam a proteína excessivamente ativa, interferindo com o desenvolvimento e a função normais dos linfócitos. Isto conduz a um aumento dos níveis de células B imaturas que se acumulam nos gânglios linfáticos (linfadenopatia) e em órgãos como o baço, o fígado ou os pulmões, bem como a níveis reduzidos de células B *naïf* (células B maduras recém-formadas envolvidas na resposta imunitária inicial), afetando a capacidade do doente para combater infeções.

A substância ativa de Joenja, o leniolisib, liga-se à fosfoinosítídeo 3-quinase delta e reduz a sua atividade, conduzindo ao desenvolvimento e função normais das células B e T.

## Quais os benefícios demonstrados por Joenja durante os estudos?

Um estudo principal incluiu 31 pessoas a partir dos 12 anos de idade com APDS, que receberam Joenja ou um placebo (tratamento simulado) juntamente com um tratamento padrão para gerir os sintomas da doença. O estudo analisou a alteração no nível de linfadenopatia e na percentagem de células B *naïf* após 12 semanas de tratamento.

As pessoas que tomaram Joenja apresentaram uma redução mais acentuada da linfadenopatia do que as que tomaram placebo, o que indica uma redução da linfoproliferação (produção anormal de linfócitos). Além disso, verificou-se um maior aumento da percentagem de células B *naïf* nas pessoas que tomaram Joenja do que nas que receberam o placebo, o que indica que o desenvolvimento de células B pode ter normalizado.

Os estudos realizados com Joenja são descritos de forma mais pormenorizada no relatório de avaliação do medicamento.

## Quais são os efeitos secundários e as restrições de Joenja?

Para a lista completa de efeitos secundários e de restrições de utilização, consulte o Folheto Informativo.

Os efeitos secundários mais frequentes associados a Joenja (que podem afetar mais de 1 em cada 10 pessoas) incluem diminuição dos níveis de neutrófilos (um tipo de glóbulo branco), dor de cabeça, vómitos, aumento do peso e alopecia (perda de cabelo).

## Por que está Joenja autorizado na UE?

Joenja demonstrou ser eficaz na redução da linfadenopatia e no aumento do número de células *naïf* B em pessoas com APDS, o que deverá reduzir o risco de infeção e outras complicações associadas à doença. O perfil de segurança foi considerado aceitável, com efeitos secundários geralmente controláveis. Por conseguinte, a Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Joenja são superiores aos seus riscos e o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE.

Joenja foi autorizado em circunstâncias excecionais. Isto significa que não foi possível obter informação completa sobre Joenja devido à raridade da doença. A empresa deve fornecer dados adicionais sobre Joenja. Deve apresentar os resultados de um estudo baseado no registo sobre a segurança e eficácia a longo prazo de Joenja e fornecer atualizações anuais sobre quaisquer novas informações relativas à segurança e eficácia do medicamento. A Agência procederá, anualmente, à análise de novas informações disponíveis.

## **Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Joenja?**

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Joenja.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Joenja são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Joenja são cuidadosamente avaliados e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger os doentes.

## **Outras informações sobre Joenja**

Estão disponíveis mais informações sobre Joenja, incluindo o Folheto Informativo e o relatório de avaliação, no sítio Web da Agência: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/joenja](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/joenja).

Para obter informações sobre a disponibilidade deste medicamento no seu país, contacte a sua [autoridade nacional competente](#).