



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Joenja (*lenolisib*)

Prezentare generală în limbaj simplu a Joenja și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Joenja și pentru ce se utilizează?

Joenja este un medicament utilizat pentru tratarea sindromului de activare a fosfoinozitidei 3-kinază delta (APDS) la adulți și adolescenți cu vârsta de cel puțin 12 ani și cu greutatea de cel puțin 45 kg.

APDS este o boală ereditară rară, în care sistemul imunitar (mecanismul natural de apărare al organismului) nu funcționează corespunzător, iar pacienții sunt mai susceptibili la infecții bacteriene și virale. De asemenea, afecțiunea poate duce la boli autoimune și limfom (cancer al limfocitelor, un tip de globule albe).

APDS este rar, iar Joenja a fost desemnat „medicament orfan” (medicament utilizat în boli rare) la 19 octombrie 2020. Mai multe informații despre medicamentele desemnate orfane se pot găsi pe [site-ul EMA](https://www.ema.europa.eu/en/what-we-do/orphan-medicines).

Joenja conține substanța activă leniolisib.

Cum se utilizează Joenja?

Medicamentul se poate obține numai pe bază de prescripție medicală. Tratamentul trebuie inițiat de un medic cu experiență în abordarea terapeutică a deficiențelor imunitare primare (când sistemul imunitar nu funcționează corespunzător).

Joenja este disponibil sub formă de comprimate care se administrează de două ori pe zi, la interval de aproximativ 12 ore, pe cale orală. Tratamentul trebuie continuat cât timp este benefic pentru pacient sau până reacțiile adverse devin inacceptabile.

Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Joenja, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

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](https://www.ema.europa.eu/en/how-to-find-us)

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

An agency of the European Union



Cum acționează Joenja?

Persoanele cu ADPS au mutații (modificări) ale genelor care controlează producerea unei proteine numite fosfoinozitudă 3-kinază delta. Proteina este esențială în dezvoltarea și funcționarea limfocitelor (celule B și T), care joacă un rol esențial în sistemul imunitar. Mutațiile hiperactivează proteina, interferând cu dezvoltarea și funcționarea normală a limfocitelor. Prin urmare, cresc nivelurile de celule B imature care se acumulează în ganglionii limfatici (limfadenopatie) și în organe precum splina, ficatul sau plămânii și scad nivelurile de celule B naive (celule B mature nou formate, implicate în răspunsul imun inițial), ceea ce afectează capacitatea pacientului de a combate infecțiile.

Substanța activă din Joenja, leniolisibul, se leagă de fosfoinozitida 3-kinază delta, îi reduce activitatea și duce la dezvoltarea și funcționarea normală a celulelor B și T.

Ce beneficii a prezentat Joenja pe parcursul studiilor?

Un studiu principal a cuprins 31 de persoane cu vârsta peste 12 ani cu APDS care au primit fie Joenja, fie placebo (un preparat inactiv), împreună cu tratamentul standard pentru gestionarea simptomelor afecțiunii. Studiul a analizat modificarea nivelului de limfadenopatie și a proporției de celule B naive după 12 săptămâni de tratament.

Limfadenopatia s-a redus mai mult la persoanele care au luat Joenja decât la cele care au luat placebo, ceea ce indică o diminuare a proliferării limfatice (producere anormală de limfocite). În plus, s-a înregistrat o creștere mai mare a proporției de celule B naive la persoanele care au luat Joenja decât la cele care au luat placebo, deci este posibil ca dezvoltarea celulelor B să se fi normalizat.

Studiile efectuate cu Joenja sunt descrise mai detaliat în raportul de evaluare a medicamentului.

Care sunt reacțiile adverse și restricțiile asociate cu Joenja?

Pentru lista completă a reacțiilor adverse și a restricțiilor asociate cu Joenja, citiți prospectul.

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Joenja (care pot afecta mai mult de 1 persoană din 10) sunt scăderea numărului de neutrofile (un tip de globule albe), dureri de cap, vărsături, creștere în greutate și alopecie (căderea părului).

De ce a fost autorizat Joenja în UE?

Joenja s-a dovedit eficace în reducerea limfadenopatiei și în creșterea numărului de celule B naive la persoanele cu APDS și se preconizează că va reduce riscul de infecție și de alte complicații asociate afecțiunii. Profilul de siguranță a fost considerat acceptabil, reacțiile adverse fiind în general gestionabile terapeutic. Prin urmare, Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Joenja sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

Joenja a fost autorizat în „condiții excepționale”. Aceasta înseamnă că, din cauza rarității bolii, nu s-au putut obține informații complete despre Joenja. Compania trebuie să furnizeze date suplimentare despre Joenja. Trebuie să prezinte rezultatele unui studiu bazat pe registre privind siguranța și eficacitatea pe termen lung a Joenja și trebuie să furnizeze actualizări anuale despre orice informații noi referitoare la siguranța și eficacitatea medicamentului. În fiecare an, agenția va analiza informațiile nou apărute.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Joenja?

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Joenja, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Joenja sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse suspectate raportate pentru Joenja sunt evaluate cu atenție și sunt luate toate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Joenja

Mai multe informații despre Joenja, inclusiv prospectul și raportul de evaluare, se pot găsi pe site-ul agenției: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/joenja.

Pentru informații despre disponibilitatea acestui medicament în țara dumneavoastră, contactați [autoritatea națională competentă](#).