



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Joenja (*leniolizib*)

Prehľad o lieku Joenja v zrozumiteľnom jazyku a prečo bol liek v EÚ povolený

Čo je liek Joenja a na čo sa používa?

Joenja je liek, ktorý sa používa na liečbu syndrómu aktivovanej fosfoinozítid-3-kinázy delta (APDS) u dospelých a dospievajúcich vo veku 12 rokov a starších s hmotnosťou najmenej 45 kg.

APDS je zriedkavé dedičné ochorenie, pri ktorom imunitný systém (prirodzená obrana tela) nefunguje správne, čo u pacientov zvyšuje náchylnosť na bakteriálne a vírusové infekcie. Ochorenie môže viesť aj k autoimunitným poruchám a lymfómu (rakovine lymfocytov, druhu bielych krviniek).

APDS je zriedkavé ochorenie, a preto bol liek Joenja 19. októbra 2020 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia. Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia sa nachádzajú na [webovej stránke](#) agentúry EMA.

Liek Joenja obsahuje liečivo leniolizib.

Ako sa liek Joenja používa?

Výdaj lieku je viazaný na lekársky predpis. Liečbu musí začať lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou primárnych imunitných deficiencií (keď imunitný systém nefunguje správne).

Liek Joenja je dostupný vo forme tabliet, ktoré sa užívajú ústami dvakrát denne s odstupom približne 12 hodín. Liečba má pokračovať dovtedy, kým je pre pacienta prínosom alebo kým sú vedľajšie účinky zvládnuteľné.

Viac informácií o používaní lieku Joenja si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo sa obráťte na svojho lekára alebo lekárnika.

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



© European Medicines Agency, 2026. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

Akým spôsobom liek Joenja účinkuje?

Ludia s APDS majú mutácie (zmeny) v génoch, ktoré kontrolujú produkciu proteínu nazývaného fosfoinozítid-3-kináza delta. Tento proteín je nevyhnutný pre vývoj a funkciu lymfocytov (B a T buniek), ktoré zohrávajú kľúčovú úlohu v imunitnom systéme. Mutácie spôsobujú, že proteín je nadmerne aktívny, čo narúša normálny vývoj a funkciu lymfocytov. To vedie k zvýšeniu hladín nezrelých B-buniek, ktoré sa hromadia v lymfatických uzlinách (lymfadenopatia) a orgánoch, ako je slezina, pečeň alebo pľúca, ako aj k zníženiu hladiny B-buniek bez predošlého vystavenia lieku (novovytvorených zrelej B-buniek, ktoré sa podieľajú na počiatočnej imunitnej odpovedi), čo ovplyvňuje schopnosť pacienta bojovať proti infekciám.

Liečivo lieku Joenja, leniolizib, sa viaže na fosfoinozítid-3-kinázu delta a znižuje jej aktivitu, čo vedie k normálnemu vývoju a funkcii B a T buniek.

Aké prínosy lieku Joenja boli preukázané v štúdiách?

Na jednej hlavnej štúdii sa zúčastnilo 31 osôb vo veku od 12 rokov s APDS, ktoré dostávali buď liek Joenja, alebo placebo (zdanlivý liek) spolu so štandardnou liečbou na zvládnutie príznakov ochorenia. V štúdii sa skúmala zmena hladiny lymfadenopatie a podielu B-buniek bez predošlého vystavenia lieku po 12 týždňoch liečby.

U osôb užívajúcich liek Joenja sa zaznamenalo väčšie zníženie lymfadenopatie ako u osôb užívajúcich placebo, čo naznačuje zníženie lymfoproliferácie (abnormálnej tvorby lymfocytov). Okrem toho sa zvýšil podiel B-buniek bez predošlého vystavenia lieku u osôb užívajúcich liek Joenja v porovnaní s osobami, ktoré dostávali placebo, čo naznačuje, že vývoj B-buniek sa mohol normalizovať.

Štúdie uskutočnené s liekom Joenja sú podrobnejšie opísané v hodnotiacej správe o lieku.

Aké sú vedľajšie účinky lieku Joenja a obmedzenia pri jeho používaní?

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Joenja a zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Joenja (ktoré môžu postihnúť viac ako 1 osobu z 10) sú znížená hladina neutrofilov (druh bielych krviniek), bolesť hlavy, vracanie, zvýšená hmotnosť a alopecia (vypadávanie vlasov).

Prečo bol liek Joenja povolený v EÚ?

Preukázalo sa, že liek Joenja je účinný pri znižovaní lymfadenopatie a zvyšovaní počtu B-buniek bez predošlého vystavenia lieku u osôb s APDS, čím sa má znížiť riziko infekcie a ďalších komplikácií súvisiacich s týmto ochorením. Bezpečnostný profil sa považoval za prijateľný a vedľajšie účinky sú vo všeobecnosti zvládnuteľné. Európska agentúra pre lieky preto rozhodla, že prínos lieku Joenja je väčší ako riziká spojené s jeho používaním a že liek môže byť povolený na používanie v EÚ.

Liek Joenja bol povolený za tzv. mimoriadnych okolností. To znamená, že kvôli zriedkavosti tohto ochorenia nebolo možné získať všetky informácie o lieku Joenja. Spoločnosť musí predložiť ďalšie údaje o lieku Joenja. Musí predložiť výsledky štúdie založenej na registri o dlhodobej bezpečnosti a účinnosti lieku Joenja a musí každoročne poskytovať aktuálne informácie o všetkých nových informáciách týkajúcich sa bezpečnosti a účinnosti lieku. Agentúra každý rok prehodnocuje všetky nové dostupné informácie.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Joenja?

Na bezpečné a účinné používanie lieku Joenja boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Joenja sa neustále kontrolujú. Podozrenia na vedľajšie účinky hlásené pri lieku Joenja sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Joenja

Ďalšie informácie o lieku Joenja vrátane písomnej informácie pre používateľa a hodnotiacej správy sa nachádzajú na webovej stránke agentúry: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/joenja.

Ak potrebujete informácie o dostupnosti tohto lieku vo vašej krajine, obráťte sa na svoj [príslušný vnútroštátny orgán](#).