



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Joenja (*leniolisib*)

Povzetek informacij o zdravilu Joenja v preprostem jeziku in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Joenja in za kaj se uporablja?

Joenja je zdravilo, ki se uporablja za zdravljenje sindroma aktivirane fosfoinozitud 3-kinaze delta (APD) pri odraslih in mladostnikih, starejših od 12 let, ki tehtajo 45 kg ali več.

Sindrom APD je redka, dedna bolezen, pri kateri imunski sistem (naravni obrambni mehanizem telesa) ne deluje pravilno, zaradi česar so bolniki bolj dovzetni za bakterijske in virusne okužbe. Bolezen lahko povzroči tudi avtoimunske motnje in limfom (raka limfocitov, vrste belih krvnih celic).

Ker je sindrom APD redka bolezen, je bilo zdravilo Joenja 19. oktobra 2020 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni). Nadaljnje informacije o določitvah zdravila sirote so na voljo na [spletni strani agencije EMA](#).

Zdravilo Joenja vsebuje učinkovino leniolisib.

Kako se zdravilo Joenja uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila je le na recept. Zdravljenje lahko uvede le zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem primarnih imunskih pomanjkljivosti (kadar imunski sistem ne deluje pravilno).

Zdravilo Joenja je na voljo v obliki tablet, ki se jemljejo peroralno dvakrat na dan v razmiku približno 12 ur. Zdravljenje je treba nadaljevati, dokler bolniku koristi oziroma dokler neželeni učinki ne postanejo nesprejemljivi.

Za več informacij glede uporabe zdravila Joenja glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

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



Kako zdravilo Joenja deluje?

Osebe s sindromom APD imajo mutacije (spremembe) v genih, ki nadzorujejo tvorbo beljakovine, imenovane fosfoinozid 3-kinaza delta. Ta beljakovina je bistvena za razvoj in delovanje limfocitov (celic B in T), ki imajo ključno vlogo v imunskem sistemu. Zaradi mutacij je beljakovina čezmerno aktivna, kar vpliva na normalen razvoj in delovanje limfocitov. To povzroči zvišane ravni nezrelih celic B, ki se kopičijo v bezgavkah (limfadenopatija) in organih, kot so vranica, jetra ali pljuča, ter znižane ravni naivnih celic B (novo oblikovanih zrelih celic B, vključenih v začetni imunski odziv), kar vpliva na bolnikovo sposobnost boja proti okužbam.

Učinkovina v zdravilu Joenja, leniolisib, se veže na fosfoinozid 3-kinaza delto in zmanjša njeno delovanje, kar privede do normalnega razvoja in delovanja celic B in T.

Kakšne koristi zdravila Joenja so se pokazale v študijah?

V eno glavno študijo je bilo vključenih 31 oseb, starejših od 12 let, s sindromom APD, ki so prejemale bodisi zdravilo Joenja bodisi placebo (zdravilo brez učinkovine) skupaj s standardnim zdravljenjem za obvladovanje simptomov bolezni. V študiji so proučevali spremembo ravni limfadenopatije in deleža naivnih celic B po 12 tednih zdravljenja.

Pri osebah, ki so jemale zdravilo Joenja, se je limfadenopatija zmanjšala bolj kot pri osebah, ki so jemale placebo, kar kaže na zmanjšanje limfoproliferacije (nenormalne tvorbe limfocitov). Poleg tega se je pri bolnikih, ki so jemali zdravilo Joenja, delež naivnih celic B povečal bolj kot pri bolnikih, ki so prejemali placebo, kar kaže na to, da se je razvoj celic B morda normaliziral.

Študije, izvedene z zdravilom Joenja, so podrobneje opisane v poročilu o oceni zdravila.

Kateri so neželeni učinki in omejitve pri uporabi zdravila Joenja?

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Joenja glejte navodilo za uporabo.

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Joenja (ki se lahko pojavijo pri več kot 1 od 10 oseb) so znižane ravni nevtrofilcev (vrste belih krvnih celic), glavobol, bruhanje, povečana telesna masa in alopecija (izpadanje las).

Zakaj je bilo zdravilo Joenja odobreno v EU?

Zdravilo Joenja se je izkazalo za učinkovito pri zmanjševanju limfadenopatije in povečevanju števila naivnih celic B pri osebah s sindromom APD, kar naj bi zmanjšalo tveganje za okužbo in druge zaplete, povezane z boleznijo. Varnostni profil velja za sprejemljivega, z na splošno obvladljivimi neželenimi učinki. Evropska agencija za zdravila je zato zaključila, da so koristi zdravila Joenja večje od z njim povezanih tveganj in da se lahko odobri za uporabo v EU.

Za zdravilo Joenja je bilo izdano dovoljenje za promet „v izjemnih okoliščinah“. To pomeni, da zaradi redkosti bolezni ni bilo mogoče pridobiti vseh podatkov o njem. Podjetje mora zagotoviti dodatne podatke o zdravilu Joenja. Predložiti mora rezultate študije o njegovi dolgoročni varnosti in učinkovitosti, ki temelji na registru, ter vsako leto predložiti posodobljene informacije o vseh novih informacijah v zvezi z varnostjo in učinkovitostjo zdravila. Agencija bo vsako leto ponovno pregledala vse nove podatke, ki bodo na voljo.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Joenja?

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Joenja upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Joenja stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Joenja, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Joenja

Nadaljnje informacije o zdravilu Joenja, vključno z navodilom za uporabo in poročilom o oceni, so na voljo na spletni strani agencije: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/joenja.

Za informacije o razpoložljivosti tega zdravila v svoji državi se obrnite na [pristojni nacionalni organ](#).