



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Joenja (*leniolisib*)

Sammanfattning på klarspråk av Joenja och varför det är godkänt inom EU

Vad är Joenja och vad används det för?

Joenja är ett läkemedel som används för att behandla aktiverat fosfoinositid 3-kinas delta-syndrom (APDS) hos vuxna och ungdomar från 12 års ålder som väger 45 kg eller mer.

APDS är en sällsynt, ärftlig sjukdom som innebär att immunsystemet (kroppens naturliga försvar) inte fungerar som det ska, vilket gör patienterna mer mottagliga för bakterie- och virusinfektioner. Tillståndet kan också leda till autoimmuna sjukdomar och lymfom (cancer i lymfocyterna, en typ av vita blodkroppar).

APDS är sällsynt och Joenja klassificerades som säräkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 19 oktober 2020. Mer information om klassificeringen som säräkemedel finns på [EMA:s webbplats](#).

Joenja innehåller den aktiva substansen leniolisib.

Hur används Joenja?

Läkemedlet är receptbelagt. Behandlingen måste inledas av en läkare med erfarenhet av att hantera primära immunbristsjukdomar (när immunsystemet inte fungerar som det ska).

Joenja finns som tabletter som ska tas genom munnen två gånger om dagen med cirka 12 timmars mellanrum. Behandlingen ska fortsätta så länge som patienten har nytta av den eller tills biverkningarna blir ohanterliga.

För mer information om hur du använder Joenja, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

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



Hur verkar Joenja?

Personer med APDS har mutationer (förändringar) i de gener som kontrollerar produktionen av ett protein som kallas fosfoinositid-3-kinas delta. Detta protein är avgörande för utvecklingen och funktionen av lymfocyter (B- och T-celler), som spelar en viktig roll i immunsystemet. Mutationerna gör proteinet överaktivt och stör lymfocyternas normala utveckling och funktion. Detta leder till att ökade nivåer av omogna B-celler ansamlas i lymfkörtlarna (lymfadenopati) och organ såsom mjälten, levern eller lungorna, liksom till minskade nivåer av naiva B-celler (nybildade mogna B-celler som deltar i det inledande immunsvaret), och påverkar patientens förmåga att bekämpa infektioner.

Den aktiva substansen i Joenja, leniolisib, binder till fosfoinositid-3-kinas delta och minskar dess aktivitet, vilket leder till att B- och T-cellerna utvecklas och fungerar normalt.

Vilka fördelar med Joenja har visats i studierna?

I en huvudstudie ingick 31 personer från 12 års ålder med APDS, som fick antingen Joenja eller placebo (overksam behandling) tillsammans med standardbehandling för att hantera symtomen på sjukdomen. I studien undersöktes förändringen av nivån av lymfadenopati och av andelen naiva B-celler efter 12 veckors behandling.

Hos personer som tog Joenja minskade lymfadenopatin mer än hos dem som tog placebo, vilket tyder på en minskning av lymfoproliferationen (onormal produktion av lymfocyter). Dessutom ökade andelen naiva B-celler mer hos personer som tog Joenja än hos dem som fick placebo, vilket tyder på att utvecklingen av B-celler kan ha normaliserats.

Studier som utförts med Joenja beskrivs närmare i utredningsprotokollet om läkemedlet.

Vilka är biverkningarna och restriktionerna för Joenja?

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Joenja finns i bipacksedeln.

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Joenja (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare) är minskning av nivåerna av neutrofiler (en typ av vita blodkroppar), huvudvärk, kräkningar, viktökning och alopeci (håravfall).

Varför är Joenja godkänt i EU?

Joenja visade sig vara effektivt när det gäller att minska lymfadenopati och öka antalet naiva B-celler hos personer med APDS, vilket förväntas minska risken för infektion och andra komplikationer i samband med tillståndet. Säkerhetsprofilen ansågs vara godtagbar, med i allmänhet hanterbara biverkningar. Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann därför att fördelarna med Joenja är större än riskerna och att Joenja kan godkännas för försäljning i EU.

Joenja har godkänts enligt reglerna om "godkännande i undantagsfall". Detta innebär att det inte varit möjligt att få fullständig information om Joenja eftersom sjukdomen är sällsynt. Företaget måste tillhandahålla ytterligare data om Joenja, närmare bestämt resultaten från en registerbaserad studie om Joenjas långsiktiga säkerhet och effekt, och måste tillhandahålla årliga uppdateringar om all ny information om läkemedlets säkerhet och effekt. EMA kommer att granska ny information om produkten varje år.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Joenja?

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Joenja har tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Joenja kontinuerligt. Misstänkta biverkningar som har rapporterats för Joenja utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

Mer information om Joenja

Mer information om Joenja, inklusive bipacksedeln och utredningsprotokollet, finns på EMA:s webbplats: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/joenja.

För information om tillgången till detta läkemedel i ditt land, kontakta din [nationella behöriga myndighet](#).