

本資料は、サノフィ(フランス・パリ)が2024年4月23日(現地時間)に発表したプレスリリースを日本語に翻訳・要約し、5月20日に配信するものです。本資料の正式言語はフランス語・英語であり、その内容および解釈については両言語が優先します。日本で承認されている主な製品名および一般名についてはカタカナ表記をしています。

2024年5月20日

## rilzabrutinib、免疫性血小板減少症における第III相LUNA 3試験で 主要評価項目を達成

- ・ 免疫性血小板減少症(ITP)患者を対象とした経口ブルトン型チロシンキナーゼ(BTK)阻害剤の初の第III相試験で得られたピボタルデータより、rilzabrutinibはITP患者において臨床的に意義ある有益性を示す可能性が示されました。
- ・ 米国と欧州における承認申請は年内に行う予定です。
- ・ サノフィは免疫領域パイプラインの拡充を進めており、12品目の医薬品・ワクチン候補の開発を進めています。rilzabrutinibはそのうちの1つであり、サノフィが免疫疾患領域における開発を加速し、次世代の革新的医薬品のポートフォリオを形成する力をもつ証といえる新薬候補です。
- ・ rilzabrutinibについては、ITPのほかにも、喘息、特発性の慢性蕁麻疹、結節性痒疹、IgG4関連疾患や温式自己免疫性溶血性貧血などの各種の免疫介在性疾患を対象とした臨床試験を実施中です。

**パリ、2024年4月23日** – 第III相LUNA 3試験で得られた肯定的な結果より、rilzabrutinibの1回400mg 1日2回経口投与を受けた持続性または慢性の免疫性血小板減少症(ITP)の成人患者において、主要評価項目である持続的な血小板反応が得られることが示されました。rilzabrutinibの安全性プロファイルは、過去の試験で報告された結果と同様の内容でした。

LUNA 3試験は主要評価項目を達成し、主要評価項目である持続的な血小板反応が得られた患者さんの割合は、rilzabrutinib群がプラセボ群を有意に上回りました。この臨床的および統計学的に有意な結果は、前治療では効果が得られなかった一次性ITP患者のサブグループでも認められました。被験者全体では、前治療数の中央値は4、ベースライン時点の血小板数の中央値は15,000/ $\mu$ Lでした(血小板数の正常範囲は150,000~450,000/ $\mu$ L)。主な副次評価項目についても肯定的な結果が得られ、持続性または慢性ITPの患者さんに対し臨床的意義のある治療ベネフィットをもたらす可能性が示されました。

rilzabrutinibはITP治療薬として、2020年11月に米国食品医薬品局(FDA)より[ファストトラック審査](#)の対象に指定されており、以前は希少疾病用医薬品に指定されています。

### ホーマン・アシュラフィアン(Houman Ashrafian)

サノフィ エグゼクティブ・バイスプレジデント、研究開発部門ヘッド

「今回の試験結果は、rilzabrutinibがファースト・イン・クラスの経口投与可能な可逆的BTK阻害剤として、ITPをはじめとする重症の免疫介在性疾患の患者さんに臨床的意義ある改善をもたらすようになる可能性を明確に示す内容です。今回得られたピボタル試験結果は、希少血液疾患領域における私たちの取り組みと専門性の証であるとともに、また従来の治療薬よりも選択性が高く、より強固な有効性と安全性のアウトカムをもたらすよう最適化された次世代小分子阻害剤のポートフォリオを構築する力があることを示しています」

ITPは重篤な後天性自己免疫性血液疾患で、自己抗体による血小板の破壊と、血小板産生の低下により、血小板減少(血小板数が100,000/ $\mu$ L未満に低下)が引き起こされ、生命を脅かす出血性事象(頭蓋内出血など)のリスクが高まります。また、ITPの患者さんの多くでは、疲労や認知機能障害などの生活の質に大きく影響する症状が現れます。Rilzabrutinibは、病原性自己抗体産生の抑制と、マクロファージによる血小板破

壊の抑制という 2 つの作用機序を通じ、ITP の合併症の背景にある病態機序に作用すると考えられています。

### LUNA3 試験について

LUNA 3試験(NCT04562766)は無作為化多施設共同第III相試験で、持続性または慢性の成人および青少年ITP患者を対象としてrilzabrutinibの有効性と安全性をプラセボと比較する試験です。試験参加者は、二重盲検治療期間において12~24週間にわたりrilzabrutinibの1回400mg 1日2回経口投与もしくはプラセボの経口投与を受けた後、28週間の非盲検治療を受け、その後4週間の安全性観察期間に入るか、長期継続投与試験に参加しました。青少年ITP患者を対象とする試験は進行中で、現在も被験者を募集中です。

LUNA 3試験の主要評価項目は、持続的な血小板反応とし、24週間の盲検投与期間中にレスキュー薬の投与がなく、後半12週間の8週以上で血小板数が50,000/μL以上であった被験者の割合として算出しました。副次評価項目は、血小板反応が得られた週数、血小板反応が得られるまでの週数、レスキュー治療の実施状況、身体的疲労と出血のスコアなどを設定しています。

LUNA 3第III相試験の詳細な結果は、本年中に学会で発表される予定です。

rilzabrutinibは現在、臨床開発段階にあり、その安全性と有効性は、いずれの規制当局でもまだ評価されていません。

### Rilzabrutinib について

rilzabrutinibは、可逆的共有結合型経口BTK阻害剤で、様々な免疫介在性疾患に対するファースト・イン・クラスまたはベスト・イン・クラスの治療薬となる可能性があります。BTKは、B細胞や、マスト細胞をはじめとする各種の免疫系細胞に発現する分子で、様々な炎症経路や多数の免疫介在性疾患の過程で重要な役割を果たしています。rilzabrutinib は、サノフィの持つTAILORED COVALENCY®技術を用い、標的であるBTKを選択的に阻害する性質を備えています。

rilzabrutinib は現在、各種の免疫介在性疾患を対象とした臨床試験で評価されており、免疫性血小板減少症(2024年下半期に申請予定)、喘息(第II相)、特発性の慢性蕁麻疹(2024年に第III相試験を開始)、結節性痒疹(2024年に第III相試験を開始)、IgG4関連疾患(2024年下半期に第IIb相試験の結果発表を予定)、温式自己免疫性溶血性貧血(2024年下半期に第IIb相試験の結果発表を予定)などの試験を実施しています。

---

### サノフィについて

サノフィは、人々の暮らしをより良くするため、科学のもたらす奇跡を追求する、というゆるぎない使命を原動力に進み続ける革新的でグローバルなヘルスケア企業です。約100カ国の社員は、医療を変革し、不可能を可能に変えるため、日々研鑽に努めています。私たちは、社会的責任と持続可能性を企業の本質とし、画期的な医薬品や生命を守るワクチンを開発し、世界何百万もの人々に届けていきます。

日本法人であるサノフィ株式会社の詳細は、<http://www.sanofi.co.jp> をご参照ください。

### サノフィの今後の見通しに関する記述

当プレスリリースには、1995年民間有価証券訴訟改正法(修正を含む)でいう「今後の見通しに関する記述」が含まれています。今後の見通しに関する記述とは、歴史的事実を述べるものではない記述です。これらの記述には、計画と予測ならびにそれらの根拠となる前提、将来の財務結果、事象、事業、サービス、製品の開発および可能性に関する計画、目標、意向および期待に関する記述、ならびに、将来の実績に関する記述が含まれます。一般的に、今後の見通しに関する記述は、「予想」、「期待」、「見込み」、「予定」、「予測」、「計画」などの表現によって識別されます。サノフィの経営陣はそのような今後の見通しに関する記述に反映された予想を妥当と考えますが、投資家は今後の見通しに関する情報と記述がさまざまなリスクと不確実性の影響を受けやすく、それらの多くが予測困難であり、通常サノフィが制御できず、そのために実際の結果と進展が、今後の見通しに関する情報と記述の中で表現された、暗示された、または予測されたものとは実質的に異なる場合があることに注意してください。そのようなリスクと不確実性には、研究開発、市販後を含む今後の臨床データおよび解析、薬剤・機器・生物学的製剤などの製品候補について提出される申請の承認の是非および時期に関するFDAやEMAなどの規制当局の決定、ならびにそのような製品候補の利用可能性や商業的可能性に影響を及ぼすラベリングその他の問題に関する当局の決定に付随する不確実性、製品候補が承認された場合に商業的に成功するという保証の欠如、代替治療薬の将来的な承認および商業的成功、サノフィが外部成長の機会から利益を得る可能性および/または規制当局の承認を得る能力、知的財産に関連するリスクおよび知的財産に関する現在係争中または将来に生じる訴訟、当該の訴訟の最終結果に付随する不確実性、為替レートと実勢金利のトレンド、不安定な経済・市場情勢、コスト削減イニシアチブとその後の変更の影響、パンデミックまたはその他の世界的危機が当社、顧客、サプライヤー、ベンダーその他のビジネスパートナーに及ぼす影響、これらのうちいずれかの財務状況、および当社の従業員、世界経済全体に及ぼす影響があり、またそのようなリスクと不確実性には、サノフィの2023年12月31日終了事業年度フォーム20-F年次報告書の「リスク要因」および「今後の見通しに関する記述」項目を含む、サノフィが作成したSECおよびAMFに対する公の届け

出の中で議論されているかまたは特定されているものが含まれます。サノフィは、適用法によって義務付けられている場合を除き、今後の見直しに関する情報または記述の更新または見直しを行う義務を負うものではありません。

---