

本資料は、サノフィ(フランス・パリ)が2025年4月3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・編集し、4月15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。

本資料は、報道関係者を対象としています。医療現場や一般の方々を対象とした医学的な情報提供や、プロモーションが目的のものではありません。なお、これらの資料は配信時当初の情報が掲載されており、最新の情報が反映されているとは限らないことをご了承ください。

報道関係各位

2025年4月15日

Rilzabrutinib、米国で承認薬のない2つの希少疾患に対し オーファンドラッグ指定を取得

- 温式自己免疫性溶血性貧血とIgG4関連疾患を対象としたオーファンドラッグ指定を米国で取得しました。
- Rilzabrutinibは現在、米国を含む複数の地域において、免疫性血小板減少症の治療薬として規制当局による審査が進行中です。

パリ、2025年4月3日 – 米国食品医薬品局(FDA)は、サノフィが開発中の新規の先進的な可逆的経口ブルトン型チロシンキナーゼ(BTK)阻害剤 rilzabrutinib について、温式自己免疫性溶血性貧血(wAIHA)と IgG4 関連疾患 (IgG4-RD) に対するオーファンドラッグ(希少疾病用医薬品)に指定しました。これら2つの希少疾患は依然として大きなアンメットメディカルニーズがあり、現時点で承認されている医薬品が存在しません。FDAは、米国における患者数が20万人未満の疾患又は病態を対象とする治験薬に対してオーファンドラッグ指定をしています。

カレン・ノーブ(Karin Knobe, MD, PhD)

希少疾患領域 グローバル開発ヘッド

「今回の2つの免疫介在性希少疾患に対するオーファンドラッグ指定は、患者数が少なく、アンメットメディカルニーズが解消されていない疾患に対するファースト・イン・クラスまたはベスト・イン・クラスの医薬品の開発に向けて前進する私たちの取り組みが評価されたものです。私たちは、rilzabrutinib が multi-immune modulation をもたらす可能性を信じ、患者数がどれほど少ない疾患であっても治療選択肢をお届けしたいとの信念のもと、様々な疾患に対する治療薬として本剤の開発を進めています。

Rilzabrutinibは現在、米国を含むいくつかの地域において免疫性血小板減少症(ITP)の治療薬として規制当局による審査が進行中です。ファストトラック指定を受けた本剤のITP治療薬としての米国食品医薬品局(FDA)の審査終了目標日は、2025年8月29日です。Rilzabrutinibは、米国、EUと日本において、ITP治療薬としてオーファンドラッグ指定も受けています。

wAIHAとIgG4-RDに対する指定の根拠となるデータ

wAIHAにおける第IIb相試験(試験ID: NCT05002777)の結果はASH 2024で発表された通り、rilzabrutinibの投与例で奏効率と疾患マーカーにおいて臨床的に意義のある結果が認められました。

IgG4-RDについては、第IIa相試験(試験ID: NCT04520451)において、rilzabrutinibの52週間投与により疾患再燃の減少、その他の疾患マーカーの改善およびステロイド減量効果が認められました。より詳細な試験結果は、今後の学会で発表する予定です。

これら2試験のrilzabrutinibの安全性プロファイルは、過去の試験の内容と同様でした。

Rilzabrutinibについて

Rilzabrutinibは、開発中の可逆的経口BTK阻害剤であり、複数の免疫介在性疾患に対するファースト・イン・クラスおよびベスト・イン・クラスの治療薬となる可能性があります。BTKは、B細胞やマクロファージをはじめとする各種の自然免疫細胞に発現しており、炎症経路および複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。サノフィの持つTAILORED COVALENCY®技術を用いることで、rilzabrutinibは標的であるBTKを選択的に阻害し、標的以外に作用することで生じる副作用を回避できる性質を備えています。Rilzabrutinibはmulti-immune modulationをもたらすことで多くの疾患における治療薬となることが期待されます。

温式自己免疫性溶血性貧血(wAIHA)について

wAIHAは、自己抗体により体内の赤血球の早期破壊(溶血)が生じる、生命を脅かすおそれのあるまれな自己免疫性疾患で、米国では毎年10万人に1~3人の割合で発症します。wAIHA患者では、骨髄での赤血球産生速度が早期破壊による赤血球の減少を補えず、消耗性の倦怠感、血栓塞栓症、浮動性めまい、動悸や息切れが現れることがあります。

IgG4関連疾患(IgG4-RD)について

IgG4-RDは、米国では成人10万人のうち約8人の割合で毎年発症する、希少かつ進行性で再発性の慢性線維炎症性疾患です。ほぼ全ての臓器に病変が生じうる可能性があり、臓器障害や不可逆的な機能障害に至り、ときには死に至ることがあります。

免疫性血小板減少症(ITP)について

ITPはまれで複雑な自己免疫障害で、血小板の破壊が進み、血小板の産生量が低下することで血小板数の減少(100,000/ μ L未満)が生じます。ITP患者においては皮下出血から、脳内出血などの生命を脅かす可能性がある出血まで、様々な部位の出血リスクがあります。また、原因不明の倦怠感、不安やうつ病、認知障害などの見逃されやすく、生活の質(QOL)に大きな影響を及ぼす症状も高頻度で現れます。

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、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2024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、今後の見通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。

本プレスリリースで言及した商標は、いずれもサノフィグループの商標です。