本資料は、サノフィ(フランス・パリ)が2025年6月12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、6月27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6月27日

Rilzabrutinib、IgG4 関連疾患における疾患再燃の抑制と 主要な疾患マーカーの改善を示す新データを EULAR2025 で発表、 米国でファストトラック指定を取得

- ・ Rilzabrutinib の新データとして、希少疾患である IgG4 関連疾患の患者さんにおいて、全身性ステロイドを中止した後も疾患再燃を抑制することが示されました。
- ・ Rilzabrutinib は、米国において IgG4 関連疾患の治療薬としてオーファンドラッグ指定とファストトラック指定を取得しました。

パリ、2025年6月12日 — 活動性 IgG4 関連疾患 (IgG4-RD) の患者を対象とした第 II 相試験の新データとして、rilzabrutinib は疾患再燃の抑制およびその他の主要な疾患マーカーの改善、疾患治療における全身性ステロイドの総投与量の減少効果をもたらすことが認められました。この試験結果は、2025年6月11日~14日にスペイン・バルセロナで開催中の欧州リウマチ学会議 (EULAR 2025) で発表されました。

ジョン・ストーン医師 (John Stone, MD, MPH)

ハーバード大学医学部教授 マサチューセッツ総合病院 Edward A. Fox内科部長

The IgG4ward! Foundation 取締役会長

「IgG4 関連疾患は進行性の免疫介在性希少疾患で、高い患者ニーズがあります。この疾患は不可逆的な臓器障害を引き起こし、死に至るおそれもありますが、承認されている治療薬は限られています。EULAR で発表されたデータは rilzabrutinib が IgG4 関連疾患の慢性線維炎症状の管理に役立つ可能性を示すものであり、疾患再燃を抑制し、全身性ステロイドによる治療への依存を軽減する効果が期待されます」

主な結果

第 II 相試験 (試験 ID: [NCT04520451](#)) は、ACR/EULAR 2019 基準に基づき IgG4-RD と診断され、スクリーニング時の IgG4 Responder Index (RI) スコアが 2 以上、リンパ節を除く単一または複数臓器に活動性疾患を有する成人患者を対象とした 52 週間にわたる非盲検プルーフ・オブ・コンセプト (POC) 試験でした。大部分の患者は rilzabrutinib 400 mg を 1 日 2 回にて、試験開始から 4 週間は全身性ステロイドの段階的な減量併用下で、それ以降は 52 週間まで rilzabrutinib 単独で投与されました。試験結果は以下の通りです。

- ・ Rilzabrutinib 投与をうけた患者さんのうち 70% は、追加治療 (全身性ステロイドまたは免疫抑制剤) を受けることなく、52 週時点まで疾患再燃がない状態を維持しました。
- ・ 52 週時点で、疾患活動性の臨床的に意義のある改善 (IgG4-RD RI スコアの 2 ポイント以上の低下) が認められました。
- ・ IgG4-RD RI スコアの低下は 12 週時点で認められ、52 週時点まで持続しました。
- ・ Rilzabrutinib の安全性プロファイルは、これまでの試験で報告された結果と同様であり、新たな安全性シグナルは認められませんでした。治療薬投与中に患者さんの 10% 以上に発現した有害事象は、下痢、COVID-19、浮動性めまい、口腔乾燥と悪心でした。

アリサ・ヨンセン (Alyssa Johnsen, MD, PhD)

免疫・オンコロジー領域担当グローバルヘッド

「サノフィは、IgG4 関連疾患をはじめとする免疫介在性の希少疾患に対する新たな治療薬の開発に力を注いでいます。今回 EULAR で発表した第 II 相試験の結果は期待のもてものであり、rilzabrutinib が IgG4 関連疾患の症状と病態の進行に意義のある効果をもたらす可能性について、信頼をさらに高めるものでした。今後も rilzabrutinib の開発プログラムをさらに進めてまいります」

米国食品医薬品局 (FDA) は、rilzabrutinib を IgG4-RD の治療薬として 2025 年 5 月にファストトラック指定、2025 年 4 月に **オーファンドラッグ** (希少疾病用医薬品) **指定** しました。ファストトラック指定は、重篤な疾患やアンメットメディカルニーズの高い疾患に対する治療薬の開発を促進し、審査を迅速化することを目的に、FDA が設けたプロセスです。FDA は、重要な新薬を早く患者さんに提供することを目的にこのプロセスを導入し、幅広い重篤な疾患を対象としています。また、FDA は、米国における患者数が 20 万人未満の希少疾患・病態を対象とする治療薬に対してオーファンドラッグ指定を付与しています。

サノフィは、rilzabrutinib の開発を今後も継続し、今年中に第 III 相試験を開始する見込みです。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、新規の先進的な可逆的経口 BTK 阻害剤であり、複数の免疫調整作用を介して免疫系のバランスを回復させることで各種の免疫介在性または炎症性の希少疾患に効果を示す新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。Rilzabrutinib は、サノフィの持つ TAILORED COVALENCY 技術[®]を用い、標的である BTK を選択的に阻害し、標的以外に作用することで生じる副作用を選択的に回避できる可能性があります。

IgG4 関連疾患 (IgG4-RD) について

IgG4-RD は、進行性、再発性の慢性免疫介在性の希少疾患で、ほぼ全ての臓器に病変が生じる可能性があり、臓器障害や不可逆的な機能障害を引き起こし、ときには死に至ることがあります。IgG4-RD の患者さんは、症状が悪化する再燃を繰り返し、その治療には IgG4-RD 治療として薬事承認はされていない全身性ステロイドやリツキシマブなどの免疫抑制薬が適応外で投与が行われています。米国では毎年、成人 10 万人あたり約 8 人がこの疾患を発症します。IgG4-RD は希少疾患で、診断が難しいため、全世界における有病率は明らかになっていません。

サノフィについて

サノフィは、研究開発型の AI を活用したバイオ医薬品企業であり、人々の暮らしをより良くし、力強い成長をもたらすことに尽力しています。免疫科学領域の深い知見を活かし、世界中の何百万人もの人々の治療と予防を行う医薬品やワクチンを提供し、さらなる貢献のために革新的なパイプラインの構築にも注力しています。「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」という使命のもと、医療・環境・社会が抱える課題に真摯に向き合い、社員と国や地域社会にとって前向きな変化を生み出すことを目指しています。

サノフィは、ユーロネクスト (EURONEXT: SAN) とナスダック (NASDAQ: SNY) に上場しています。

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革法 (改正を含む) 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、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。