

本資料は、サノフィ(フランス・パリ)が 2025 年 6 月 30 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、7 月 3 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 7 月 3 日

Riliprubart 日本において慢性炎症性脱髄性多発根神経炎(CIDP)に対する 希少疾病用医薬品指定を取得

- ・ 現在、CIDP 患者を対象とした第 III 相試験が 2 件進行中で、riliprubart は同疾患におけるファースト・イン・クラスの治療薬となる可能性があります。
- ・ 日本における希少疾病用医薬品(オーファンドラッグ)指定は、米国および欧州での指定に続くもので、riliprubart が CIDP という希少神経疾患に対して、患者が抱える大きなアンメットメディカルニーズに対応できる可能性を世界の規制当局に認められていることを示しています。

パリ、2025 年 6 月 30 日 – 日本の厚生労働省は、サノフィが開発中のモノクローナル抗体製剤 riliprubart を慢性炎症性脱髄性多発根神経炎(CIDP)の治療に対する希少疾病用医薬品(オーファンドラッグ)に指定しました。Riliprubart は、自然免疫系の古典的補体経路において活性化 C1s を選択的に阻害する薬剤です。CIDP 患者の多くは、現在の治療法では十分な効果が得られなかったり、副作用が現れたり、治療薬の投与が大きな負担になったりするなど、依然として大きなアンメットニーズを抱えています。厚生労働省による希少疾病用医薬品指定は、医療上の必要性が高い希少疾患を対象としています。日本では、約 4,000 名の患者が CIDP と診断されています¹。

エリック・ウォルストローム (Erik Wallstroem, MD, PhD)

サノフィ 神経開発領域グローバルヘッド

「私たちは、免疫系に関する深い知見を活かし、アンメットニーズが大きい希少神経疾患に取り組んでいます。今回、日本で CIDP に対するオーファンドラッグの指定を受けたことは、こうした取り組みの成果の一つです。CIDP に対する治療は行われているものの、多くの患者さんは今なお痛み、疲労、筋力低下などの重度な症状に苦しんでいます。現在進めている riliprubart の開発は、神経疾患の治療に新たな可能性をもたらし、患者さんの生活の質を高めることを目指しています。」

¹ Japan: Aotsuka Y, Misawa S, Suichi T, Shibuya K, Nakamura K, Kano H, Otani R, Morooka M, Ogushi M, Nagashima K, Sato Y, Kuriyama N, Kuwabara S. Prevalence, Clinical Profiles, and Prognosis of CIDP in Japanese Nationwide Survey: Analyses of 1,257 Diagnosis-Confirmed Patients. *Neurology*. 2024 Mar 26;102(6):e209130. doi: 10.1212/WNL.0000000000209130. Epub 2024 Feb 26.

Riliprubart の第 II 相試験では、76 週間にわたる長期有効性および安全性に関するデータが得られました。この結果は、2025 年 5 月 17～20 日に英国エディンバラで開催された末梢神経学会 (PNS 2025) で発表されました。試験結果からは、幅広い CIDP 患者において、riliprubart の長期的な有用性が期待されることが示唆されました。現在、riliprubart は標準治療で効果が得られない患者を対象とした MOBILIZE 試験 (試験 ID: NCT06290128) と、免疫グロブリン静注療法 (IVIg) を受けている患者を対象とした VITALIZE 試験 (試験 ID: NCT06290141) の 2 件の第 III 相臨床試験で評価が進められています。

Riliprubart について

SAR445088 (riliprubart) は、IgG4 ヒト化モノクローナル抗体製剤で、自然免疫系の古典的補体経路における活性化 C1s を選択的に阻害します。C1s を阻害することで、CIDP 患者における脱髄や軸索損傷を引き起こす主な炎症経路を阻害する可能性があります。現在、riliprubart は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評価されていません。Riliprubart の臨床試験に関する詳細については、www.clinicaltrials.gov をご覧ください。

CIDP について

CIDP は、四肢の脱力や感覚障害が進行するまれな疾患です。CIDP は、体内の免疫系が末梢神経系の神経細胞を被っている髄鞘 (ミエリン鞘) を攻撃することで現れます。適切な治療により長期的な身体障害を予防することができるため、早期診断が重要です。現在、CIDP の治療薬は存在しますが、脱力やしびれ、疲労感などの症状が残ることがあり、慢性的に病状が悪化したり、生活の質が低下する患者も少なくありません。標準治療では効果が得られない CIDP 患者は約 3 割にのぼり、治療効果がみられる患者のうち約 7 割は十分な改善が得られていません。治療を継続することなく寛解に至る患者は、3 割未満とされています²。

²Cocito D., et al. Eur J Neurol. 2010;17(2): 289–294

Mair D., et al. Journal of Neurology, Neurosurgery & Psychiatry. 2025;96:38–46

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。