

本資料は、サノフィ(フランス・パリ)が 2025 年 8 月 29 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、9 月 12 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 9 月 12 日

サノフィの Wayrilz、米国で免疫性血小板減少症を適応とする初の BTK 阻害薬として承認を取得

- Wayrilzは、多面的な免疫調節作用を介して免疫性血小板減少症(ITP)の病態に働きかける新規BTK阻害剤です。
- Wayrilzの承認の根拠となった第III相LUNA 3試験では、持続的な血小板反応とITPの症状改善が確認されました。
- ITPは複合的な免疫調節異常により、血小板数の減少、出血や生活の質(QOL)の低下を引き起こします。米国では2万5000人の成人患者がこの治療薬で改善がみられると予測されています。

パリ、2025 年 8 月 29 日 – 米国食品医薬品局(FDA)が本日、Wayrilz(rilzabrutinib)を既存の治療薬では効果不十分な持続性または慢性の免疫性血小板減少症(ITP)の成人患者に対する治療薬として承認しました。本剤の承認は、ピボタル LUNA 3 第 III 相試験に基づきます。同試験で Wayrilz は主要評価項目と副次評価項目を達成し、血小板数の持続的な改善およびその他 ITP の症状の緩和に対する良好な効果を示しました。

Platelet Disorder Support Association(血小板障害サポート協会)のプレジデント兼 CEO のキャロライン・クルーズ氏(**Caroline Kruse**)は次のように述べています。「免疫性血小板減少症がもたらす負担は心身両面に及び、症状は日常生活の様々な局面に影響しますが、今までほとんど顧みられていませんでした。今回、患者さんやご家族が疾病管理で抱える負担を軽減できる新たな治療選択肢が手にできたことをたいへん嬉しく思います」

新規の可逆的経口ブルトン型チロシンキナーゼ(BTK)阻害剤であるWayrilzは、免疫系の様々な経路を標的として多面的な免疫調節作用を発揮することで、ITPの病態に働きかけると考えられています。

サノフィのエグゼクティブ・バイスプレジデントで、スペシャルティケアヘッドのブライアン・フォード(**Brian Foard**)は次のように述べています。「Wayrilz は、従来薬とは異なる作用機序を持ち、これまでの治療では効果が得られなかった免疫性血小板減少症の患者さんの治療選択肢となる可能性があります。本剤がその多面的な免疫調節作用を通じて、免疫性血小板減少症の根本的原因にアプローチすることは、未だ満たされていない患者さんのニーズに応えるために治療手段を適応・進化させようとするサノフィの取り組みと合致するものです。今回の承認は、希少疾患と免疫関連疾患との接点におけるサノフィの専門性と熱意がもたらしたものとと言えます」

LUNA 3 第III相試験は、持続性または慢性のITP成人患者(n=202)を対象に Wayrilz の有効性と安全性をプラセボと比較した試験で、試験結果は第66回米国血液学会(ASH)年次総会で発表されました。試験の第12週に血小板数が改善した患者(Wayrilz群の64%とプラセボ群の32%が該当)は、二重盲検試験を継続し、24週

間の投与期間を完了しました。試験ではWayrilz群をプラセボ群と比較し、以下の結果が得られました。

- 25週時に持続的な血小板反応がみられた患者の割合は、Wayrilz群23%、プラセボ群は0%で、Wayrilz群で有意でした($p<0.0001$)。
- 血小板反応までの期間はWayrilz 群は36日、プラセボ群は未到達でした($p<0.0001$)。
- 血小板反応の持続期間(最小二乗平均値)の比較では、Wayrilz群は7週間、プラセボ群は0.7週間でした。

ITPに伴う症状の評価スケールであるITP-PAQ (Immune Thrombocytopenia Patient Assessment Questionnaire)を用いて評価した9項目からなる健康関連QOLスコアの合計ポイントは、Wayrilz群では10.6ポイント、プラセボ群では2.3ポイントの改善が示されました。なお、本解析結果は記述的なものであり、統計学的有意性を検証する検出力は設定されていません。Wayrilz群で高頻度で認められた副作用(発現率10%以上)は、下痢、悪心、頭痛、腹痛とCOVID-19でした。

マサチューセッツ総合病院血液科部長兼ハーバード大学医学部内科教授で、試験報告書の著者であるデビッド・クーター医師(David Kuter, MD)は次のように述べています。「免疫性血小板減少症の従来の管理法は、血小板数の正常化、出血リスクの低減を主目的とするものでしたが、一部の患者さんにおいては十分な効果が得られない、症状が持続する、治療に伴う重度な合併症が生じることがありました。多面的な免疫調節作用をもたらす Wayrilz は、ステロイド治療が無効な患者さん、既存治療で十分な効果が得られない患者さんにとって新たな治療選択肢となります。」

Wayrilzは2025年6年にアラブ首長国連邦において、持続性または慢性のITPがみられ、他の治療にて十分な効果が得られない、または、忍容性に問題がある成人患者の治療薬として承認されました。Wayrilzは現在、EUと中国においてITPの治療薬として審査中です。

WayrilzはFDAよりITP治療薬としてファストトラック審査指定とオーファンドラッグ指定を受け、日本とEUでもオーファンドラッグ指定を受けています。FDAは、温式自己免疫性溶血性貧血(wAIHA)、IgG4関連疾患(IgG4-RD)と鎌状赤血球症(SCD)についてもWayrilzをオーファンドラッグに指定しました。Wayrilzは、IgG4-RDの治療薬としてもFDAよりファストトラック審査の対象に指定されており、欧州医薬品庁(EMA)からもオーファンドラッグ指定を受けています。

LUNA 3 試験について

LUNA 3 (試験ID: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ITPの成人患者と青少年患者を対象にWayrilz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Wayrilz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週間の非盲検治療期間に入り、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。青少年を対象とした試験は、現在実施中です。LUNA 3試験の主要評価項目である持続的な血小板反応は、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週以上で血小板の各週測定が規定通り行われ、そのうち3分の2以上で血小板数が $50,000/\mu\text{L}$ 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(レスキュー治療を行うことなく血小板数が $50 \times 10^9/\text{L}$ 以上に上昇するか、またはベースラインから2倍以上増加し $30 \times 10^9/\text{L} \sim 50 \times 10^9/\text{L}$ 未満となることと定義)が得られるまでの週数、規定の血小板反応(例: 倍増または規定範囲まで上昇)が維持された週数、レスキュー治療の実施状況、身体的疲労スコアや出血スコアなどでした。

Wayrilzについて

Wayrilz (rilzabrutinib) は、多面的な免疫調節を介してITPの病態に働きかけることを目指した初の共有結合型BTK阻害薬です。米国では、Wayrilzは既存治療で効果不十分な持続性または慢性の免疫性血小板減少症(ITP)の成人患者に対する治療薬として承認されています。また、アラブ首長国連邦では、Wayrilzは既存治療で効果不十分か不耐の持続性または慢性のITPの成人患者に対する治療薬として承認されています。B細胞、マクロファージ、自然免疫細胞などで発現するBTKは、様々な免疫介在性の病態形成過程や炎症経路において重要な役割を担っていると考えられています。本剤は、サノフィの持つTAILORED COVALENCY技術®を応用することで標的とすべきBTKを選択的に阻害します。

現在、温式自己免疫性溶血性貧血(wAIHA)、IgG4関連疾患(IgG4-RD)や鎌状赤血球症(SCD)をはじめと

する各種の希少疾患を対象とする試験を行い、Wayrilzの開発を進めています。これらの疾患に対するWayrilzの使用について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。

免疫性血小板減少症 (ITP) について

複合的な免疫調節異常が原因であるITPでは、血小板数の減少(100,000/ μ L未満)が生じ、それに伴う様々な出血症状や血栓塞栓症のリスクが高まります。ITPの患者さんは、内出血や脳内出血などの生命を脅かす可能性があるものを含む出血症状のみならず、倦怠感や認知機能の低下などによる生活の質(QOL)の低下を抱えている場合があります。

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。

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、製品のマーケティングおよびその他の可能性、あるいは製品から将来得られる可能性のある利益に関する予測や見通しが含まれます。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、予測されない規制当局の行動または遅延、または政府の規制全般のうち本製品の入手可能性や商業的可能性に影響を及ぼすもの、本製品が商業的に成功するという保証の欠如、臨床開発に付随する不確実性すなわち今後得られる製品の臨床データや現存する臨床データ(市販後調査を含む)の解析、予測されない安全性、品質または製造に関する問題、競合全般、知的財産に関連するリスクおよび知的財産に関して将来に生じる訴訟、当該の訴訟の最終結果に付随するリスク、経済情勢や市場状況の変化、世界的な危機が当社、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。