

報道関係各位

2025 年 10 月 3 日

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。

免疫性血小板減少症 (ITP) 治療薬 rilzabrutinib 日本で製造販売承認申請

ITP 治療における初めての BTK 阻害剤となる可能性

サノフィ株式会社(本社:東京都新宿区、代表取締役社長:岩屋孝彦、以下「サノフィ」)は、持続性または慢性の免疫性血小板減少症 (ITP) に対する治療薬として開発を進めていた rilzabrutinib (国際一般名) について、本日、厚生労働省に製造販売承認を申請しました。Rilzabrutinib は、BTK (ブルトン型チロシンキナーゼ) を標的とする経口阻害剤であり、ITP 治療領域においてこの作用機序を持つ薬剤としては、本邦初の申請となります。これまでの治療選択肢とは異なるアプローチにより、ITP 治療に新たな選択肢をもたらすことが期待されています。

ITP は、免疫応答や全身性の炎症を引き起こす自然免疫ならびに獲得免疫が関わる複合的な免疫調節異常を伴う疾患で、血小板破壊の亢進および血小板産生の低下による血小板数の減少 (100,000/ μ L 未満) を特徴とします。免疫系の関与が明らかになった近年、「免疫性血小板減少症 (ITP)」と呼ばれるようになりましたが、それ以前は「特発性血小板減少性紫斑病」と呼ばれていました。日本では、この病気を患っている患者の総数は約 2 万人であり、新たに毎年約 3,000 人がこの病気に罹患するとされています*。ITP 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るほか、治療に伴う動脈・静脈血栓症のリスクもあります。さらに血小板減少に加えて、倦怠感、不安やうつ症状、認知機能の低下など、生活の質 (QOL) に影響を及ぼす症状がみられます**。

*難病情報センター <https://www.nanbyou.or.jp/entry/157>

**Cooper N, Kruse A, Kruse C, et al. Am J Hematol. 2021 Feb 1;96(2):188-198./ Y. Tsukune, N. Komatsu, Intern Med. 2016;55(17):2379-85.

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本邦初の共有結合型 BTK 阻害薬です。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。本申請は、日本人を含む国際共同第 III 相試験 (LUNA 3 試験) の結果に基づいています。同試験では、成人 ITP 患者における持続的な血小板反応において、rilzabrutinib 群とプラセボ群の間に有意な差が認められました。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の割合は、rilzabrutinib 群が 23.3%、プラセボ群が 0% でした。また、前治療歴 (リツキシマブ、トロンボポエチン受容体作動薬等) のある ITP 患者のサブグループでも、持続的な血小板反応が得られた患者の割合において、有意差が認められました。また、前治療歴 (リツキシマブ、トロンボポエチン受容体作動薬等) のある ITP 患者のサブグループでも、持続的な血小板反応が得られた患者の割合において、有意差が認められました。リルザブルチニブ群では盲検投与期間の最初の 12 週間に血小板反応が得られた患者の割合が高く、85 例 (63.9%) であったのに対し、プラセボ群では 22 例 (31.9%) でした。さらに、倦怠感や QoL の評価、出血の減少、血小板反応が得られた週数、レスキュー治療を必要とする患者割合などの主要な副次評価項目も達成しました。Rilzabrutinib 群における、最も一般的な副作用 (発生率 $\geq$ 10%) は、下痢、吐き気、頭痛、腹痛、COVID-19 でした。

なお、rilzabrutinib の ITP の適応に対して、2022 年 12 月に厚生労働省より希少疾病用医薬品の指定を受け
ており、優先審査の対象となっております。米国でも同様に、rilzabrutinib の ITP の適応に対して、希少疾病用
医薬品にも指定されており、2025 年 8 月に承認されています。また、rilzabrutinib の温式自己免疫性溶血性
貧血(wAIHA)、IgG4 関連疾患(IgG4-RD)、鎌状赤血球症(SCD)の適応に対しても、米国では希少疾病用医
薬品に指定されています。現在、rilzabrutinib は、多面的な免疫調節作用を有することから温式自己免疫性溶
血性貧血(第Ⅱ相)、IgG4 関連疾患(第Ⅱ相)、喘息(第Ⅱ相)、特発性 の慢性蕁麻疹(第Ⅱ相)など、複数の
免疫介在性疾患を対象とした臨床試験を実施中です。

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、<https://www.sanofi.co.jp> をご参照ください。

お問い合わせ先

サノフィ株式会社

e-mail: Communications.SAJ@sanofi.com