

本資料は、サノフィ(フランス・パリ)が 2025 年 12 月 23 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、1 月 16 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

2026 年 1 月 16 日

サノフィの Wayrilz、EU 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

- 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。
- 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の症状改善を示しました。
- ITPは複合的な免疫調節異常により、血小板数の減少、出血、そして生活の質(QOL)の低下を引き起こします。

パリ、2025 年 12 月 23 日 – 欧州委員会は、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 (rilzabrutinib)を他の治療で効果不十分な免疫性血小板減少症(ITP)の成人患者に対する新たな治療薬として承認しました。今回の承認は、欧州医薬品庁(EMA)の医薬品委員会(CHMP)による[肯定的見解](#)に基づきます。

Wayrilzは、免疫系の複数経路を標的として多面的な免疫調節作用を介して、ITPの病態に働きかけると考えられています。

エストフォル病院(ノルウェー)の研究責任者兼血液内科医であるワリード・ガニマ医師(**Waleed Ghanima, MD**)は、次のように述べています。「ITP は、複合的な免疫調節異常が引き起こす疾患で、血小板減少や出血の他にも様々な症状が現れますが見過ごされることが多く、そうした症状が心身の健康に影響を及ぼし、生活の質の低下をもたらします。ITP に対しては、血小板数を上げて出血リスクを低減する治療が行われていますが、出血以外の症状が持続する患者さんも多くおられます。Wayrilz は、複合的な免疫調節異常に対して多面的な免疫調節作用を発揮し、ITP の病態に働きかけ、ITP のもたらす様々な負担の軽減に寄与する新たな治療薬です。」

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。「EU における ITP 治療薬としての Wayrilz の承認は、サノフィの免疫科学に関する知見を生かし、炎症性希少疾患とともに生きる方々に意義ある進歩を届けるという当社の取り組みの成果です。Wayrilz は独自の作用機序で、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ことが出来る薬剤で、患者さんに進歩した治療のベネフィットをもたらすことが期待されます。」

EUにおけるWayrilzの承認は、ピボタル第III相試験 LUNA3(試験ID:[NCT04562766](#))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。

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、[Blood](#)誌に掲載されています。試験の12週間で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群で有意差がみとめられました($p<0.0001$)。
- 血小板反応までの期間(中央値)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 に伴う症状とその影響の評価スケールである ITP-PAQ (Immune Thrombocytopenia Patient Assessment Questionnaire)を用いて評価した総合的なHRQoL スコアは、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群に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、COVID-19でした。

Wayrilzは、ITP治療薬として米国、EU、アラブ首長国連邦で承認されており、日本と中国において審査中です。米国ではITP治療薬としてファストトラック指定とオーファンドラグ指定を受け、日本とEUでもオーファンドラグ指定を受けています。現在開発中のその他の適応症である温式自己免疫性溶血性貧血(wAIHA)*、IgG4関連疾患(IgG4RD)と鎌状赤血球症(SCD)に対し、米国食品医薬品局(FDA)がオーファンドラグに指定しています。Wayrilzは、IgG4-RDの治療薬としてFDAのファストトラック審査の対象でもあり、EUでもオーファンドラグ指定を受けています。

*日本においては2025年12月23日に厚生労働省が希少疾病用医薬品に指定

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、二重盲検治療期間では12~24週間にわたりWayrilzの1回400 mg 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。EUにおける主要評価項目は、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)までの期間、規定の血小板反応(例:血小板数の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、出血スコア(IBLSスケールで評価した出血スコアのベースラインから25週時までの変化)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。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、さまざまな免疫介在性の病態形成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®により標的とすべきBTKを選択的に阻害します。この画期的な新薬は、ITP治療薬として米国、EUおよびアラブ首長国連邦で承認されています。本剤は現在、中国と日本においてITPの治療薬として審査中です。

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/μL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。

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、<https://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。