

本資料は、サノフィ(フランス・パリ)が 2026 年 2 月 9 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、2 月 13 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 2 月 13 日

サノフィの rilzabrutinib、温式自己免疫性溶血性貧血の治療薬として 米国におけるブレークスルーセラピー指定と 日本における希少疾病用医薬品指定を取得

- Rilzabrutinib は、温式自己免疫性溶血性貧血の治療薬として初めて米国 FDA のブレークスルーセラピー指定を取得した薬剤です。
- 多面的な免疫調節作用により、複合的な免疫調節異常にアプローチします。
- Rilzabrutinib は、様々な希少疾患の治療薬として各国規制当局より各種の指定を受け、その幅広い可能性に期待が寄せられています。

パリ、2026 年 2 月 9 日 – 米国食品医薬品局(FDA)は、サノフィが開発中の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 rilzabrutinib を、温式自己免疫性溶血性貧血(wAIHA)に対するブレークスルーセラピーに指定しました。wAIHA は、赤血球の破壊(溶血)が生じる、まれな自己免疫性疾患です。日本においても、厚生労働省が rilzabrutinib を同疾患に対する希少疾病用医薬品に指定しました。

両指定は、wAIHA 患者を対象として rilzabrutinib の有効性と安全性を評価する現在実施中の LUMINA 2 第 IIb 相試験(試験 ID:[NCT05002777](#))の臨床データに基づきます。現在、wAIHA 患者を対象にプラセボ対照で有効性と安全性を評価する LUMINA 3 第 III 相試験(試験 ID:[NCT07086976](#))も進行中です。wAIHA は、貧血や倦怠感、重篤な臓器障害のリスクを伴うまれな自己免疫性疾患ですが、現時点では、この疾患の病態に働きかける医薬品は承認されていません。

FDA のブレークスルーセラピー指定は、重篤または生命が脅かされる疾患を対象に新薬の開発と審査を加速する制度で、既存治療を大きく上回る改善の可能性を示す予備的な臨床エビデンスが得られている品目が対象となります。日本におけ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用の医薬品が対象となります。

サノフィの希少疾患領域グローバル開発ヘッドのカレン・ノーブ(Karin Knobe)は、次のように述べています。「今回の指定は、wAIHA の患者さんらが依然として大きなアンメットニーズを抱えている現実と、治療選択肢が乏しい希少疾患に対して、革新的治療を届けるための私たちの取り組みが評価されたものともいえます」

Rilzabrutinib は現在、米国・EU・アラブ首長国連邦(UAE)において、免疫性血小板減少症(ITP)の成人患者の治療薬として Wayriz の製品名で承認を取得しているほか、日本では ITP 治療薬として審査中です。米国・EU・UAE における ITP 治療を除く全ての適応については現在開発段階にあり、いずれの規制当局においても評価は完了していません。

米国 FDA は、rilzabrutinib を wAIHA のほか、IgG4 関連疾患 (IgG4-RD) および鎌状赤血球症の治療薬としてオーフアンドラッグに指定しています。また、FDA は ITP 治療薬としてファストトラックにも指定しており、EU では ITP、自己免疫性溶血性貧血および IgG4-RD の治療薬としてオーフアンドラッグ指定を受けています。

温式自己免疫性溶血性貧血(wAIHA)について

wAIHA は、複合的な免疫調節異常がもたらす、生命に関わるまれな自己免疫疾患で、自己免疫性溶血性貧血の半数以上を占める疾患です。wAIHA では、自己抗体が体内の赤血球の早期破壊(溶血)を引き起こし、ときには骨髄での赤血球産生が赤血球の減少を補えない状態となります。発症頻度は、米国と EU で、人口 10 万人に 4~24 人の割合で発症します。倦怠感、浮動性めまい、動悸や息切れが現れることがあります、血栓塞栓症などの合併症が現れるおそれもあります。

Rilzabrutinib について

Rilzabrutinib(承認国での製品名:Wayrilz)は、新規の可逆的経口 BTK 阻害剤で、多面的な免疫調節作用を通じ、各種の免疫介在性・炎症性の希少疾患に対する新たな選択肢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、様々な免疫介在性疾患や炎症経路で重要な役割を果たしています。本剤は、サノフィの持つ TAILORED COVALENCY 技術[®]を応用し標的とすべき BTK を選択的に阻害します。米国・EU・UAE で、免疫性血小板減少症(ITP)の治療薬として承認されています。日本でも、ITP 治療薬として審査中です。

Rilzabrutinib については、ITP と wAIHA のほかにも、IgG4-RD や鎌状赤血球症などの各種の希少疾患を対象とした臨床試験が行われています。これらの疾患に対する rilzabrutinib の使用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まだ評価されていません。

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NASDAQ(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、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り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、これらのうちいづれかの財務状況、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す。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。