

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3月3日

サノフィのリルザブルチニブ、IgG4 関連疾患の治療薬として 日本で希少疾病用医薬品指定を取得

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、IgG4 関連疾患(IgG4-RD)に対して開発中のリルザブルチニブ(一般名)が厚生労働省より希少疾病用医薬品に指定されたことお知らせします。今回の IgG4 関連疾患は、リルザブルチニブが国内で希少疾病用医薬品指定を受けた3つ目の対象疾患になります。

IgG4 関連疾患は、国の指定難病にも指定されている進行性・再発性の慢性免疫介在性の希少疾患で、全身の臓器に病変が生じる可能性がある疾患です。本疾患は臓器損傷や不可逆的な臓器障害を引き起こし、ときには生命に関わることもあります。しかし、わが国における IgG4 関連疾患の治療選択肢は限られており、治療ニーズが十分満たされていない状況です。

リルザブルチニブは、新規の可逆的経口 BTK(ブルトン型チロシンキナーゼ)阻害剤です。多面的な免疫調節作用を介して免疫系のバランスを回復させることで、各種の免疫介在性または炎症性の希少疾患に効果を示す新規治療薬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ており、炎症経路および複数の免疫介在性疾患の過程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®技術を用い、標的である BTK を選択的に阻害し、標的以外に作用することで生じる副作用を選択的に回避できる可能性があります。

IgG4 関連疾患治療薬としてリルザブルチニブを評価する第 II 相試験(試験 ID:[NCT04520451](#))が実施され、その結果は、2025年6月の欧州リウマチ学会議(EULAR 2025)で発表されました。本試験は、ACR/EULAR 2019 基準に基づき IgG4 関連疾患と診断され、スクリーニング時の IgG4-RD Responder Index (RI)スコアが2以上、リンパ節を除く単一または複数臓器に活動性疾患を有する成人患者を対象とした52週間にわたる非盲検プルーフ・オブ・コンセプト(POC)試験でした。大部分の患者はリルザブルチニブ 400 mg を1日2回にて、試験開始から4週間は全身性ステロイドの段階的な減量併用下で、それ以降は52週までリルザブルチニブ単独で投与されました。試験結果は以下の通りです。

- ・ リルザブルチニブの投与を受けた患者さんの約70%は、追加治療(全身性ステロイドまたは免疫抑制剤)を受けることなく、52週時点まで疾患再燃がない状態を維持しました。
- ・ 52週時点で、疾患活動性の臨床的に意義のある改善(IgG4-RD RIスコアの2ポイント以上の低下)が認められました。
- ・ IgG4-RD RIスコアの低下は12週時点で認められ、52週時点まで持続しました。
- ・ リルザブルチニブの安全性プロファイルは、これまでの試験で報告された結果と同様であり、新たな安全性シグナルは認められませんでした。治験薬投与中に患者さんの10%以上に発現した有害事象は、下痢、COVID-19、浮動性めまい、口腔乾燥、悪心でした。

現在、日本人を含む IgG4 関連疾患を対象としたリルザブルチニブの RILIEF 第 III 相試験(試験 ID:[NCT07190196](#))が進行中です。

リルザブルチニブについて

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)の治療薬として Wayrilz の製品名で承認されています。日本では、2025 年 10 月に ITP に対して製造販売承認申請を行いました。

リルザブルチニブは、多面的な免疫調節作用を有することから、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。日本では、温式自己免疫性溶血性貧血(第 III 相)、IgG4 関連疾患(第 III 相)、特発性の慢性蕁麻疹(第 II 相)などの開発を進めています。これらの疾患に対する本剤の使用は試験段階であり、これら疾患における本剤の安全性と有効性が各国の規制当局から十分に評価され確認されているわけではありません。なお、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います。また、温式自己免疫性溶血性貧血に対して、2025 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います。

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、<https://www.sanofi.co.jp/> をご参照ください。