

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6月19日

ウェイリズ®、免疫性血小板減少症における 初の BTK 阻害剤として承認を取得

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、本日ブルトン型チロシンキナーゼ(BTK)阻害剤である「ウェイリズ®錠 400 mg」(一般名:リルザブルチニブ)について、既存治療で十分な効果が得られない成人に対し「持続性及び慢性免疫性血小板減少症」を効能又は効果として、2026年6月19日に製造販売承認を取得しました。ウェイリズは多面的な免疫調節を通じ、複合的な免疫調節異常を背景とした免疫性血小板減少症(ITP)の病態そのものに働きかける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障害に伴う血小板数の減少(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ことを受け、近年では「免疫性血小板減少症」と呼ばれるようになりましたが、以前は「特発性血小板減少性紫斑病」という名称で知られていました。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で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。さらに血小板数の減少に加えて、倦怠感、不安やうつ症状、認知機能の低下など、生活の質(QOL)に影響を及ぼすことが報告されています*。

ウェイリズ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世界初の可逆的共有結合型BTK阻害剤です。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、標的であるBTKを選択的に阻害します。これにより、B細胞シグナル経路の抑制を介した自己抗体産生の低減や、マクロファージによる血小板破壊の抑制に加え、抗炎症作用が期待されます。また、標的以外に作用することで生じる副作用も低減できる可能性があります。B細胞およびマクロファージを含む免疫系に働きかけることでITPの原因となる免疫異常に対して多面的に作用し、病態そのものにアプローチすることが期待されています。

なお、本承認はLUNA 3試験**(国際共同第3相試験)の結果に基づいています。同試験は、既存治療で効果不十分な成人の持続性または慢性ITP患者を対象に実施され、主要評価項目および主要な副次評価項目を達成しました。主要評価項目である持続的な血小板反応(血小板数 \geq 50,000/ μ L)の達成割合は、ウェイリズ群で23.3%、プラセボ群で0%でした。また、投与後12週間における血小板反応の達成割合は、ウェイリズ群で63.9%、プラセボ群で31.9%でした。さらに、出血や倦怠感、QOLに関連する指標などの副次評価項目においても改善が認められました。安全性プロファイルについては、主な有害事象として下痢、悪心、頭痛、腹痛等が報告されました。

大阪大学医学部附属病院 輸血・細胞療法部 病院教授 加藤 恒 先生は、次のように述べています。
「ITP患者さんにとって血小板を正常に近づけ、出血を心配することなく生活を過ごせることは極めて重要ですが、さらに最近ではITP疾患そのもの、または治療に伴う倦怠感といった様々な症状についても関心が高まっています。ウェイリズは多面的な免疫調節作用を発揮し、ITP病態のより根源へアプローチする新しい作用機

序で、血小板数の改善のみならず、患者さんの QOL 向上も含めたより高いレベルの疾患制御を実現し得る、新たな治療選択肢となることが期待されます。」

サノフィ株式会社 スペシャルティケアビジネスユニット希少血液疾患フランチャイズヘッド富永重人は、次のように述べています。

「ITP 治療薬として世界初の BTK 阻害剤であるウェイリズを患者さんにお届けできることを心より嬉しく思います。ウェイリズが多面的な免疫調節を目指した治療の新たな選択肢となることで、ITP 診療のさらなる前進に貢献し、一人でも多くの患者さんが自分らしい生活と人生を取り戻していただけるよう、サノフィは尽力してまいります。」

サノフィは、これからも ITP をはじめとする希少血液疾患領域において、治療選択肢の提供を通じて、患者さんの生活の質の向上に貢献してまいります。

【ウェイリズ製品概要】

製品名	ウェイリズ錠 400 mg
一般名	リルザブルチニブ
効能又は効果	持続性及び慢性免疫性血小板減少症
用法及び用量	通常、成人にはリルザブルチニブとして 1 回 400mg を 1 日 2 回、経口投与する
製造販売承認日	2026 年 6 月 19 日
製造販売元	サノフィ株式会社

*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.

**LUNA3試験について

LUNA 3 試験(NCT04562766)は、持続性または慢性 ITP を有する成人・青少年患者を対象に、ウェイリズ対プラセボの有効性を評価し、安全性を検討した無作為化・多施設共同・第 3 相試験です。患者はウェイリズ 400mg1 日 2 回またはプラセボを 12～24 週間の二重盲検期間投与後、28 週間のオープンラベル期間に移行しました。主要評価項目は、24 週間の二重盲検治療期間の後半 12 週のうち 8 週以上で血小板数 $\geq 50,000/\mu\text{L}$ を達成した患者の割合(救済療法不使用下)と定義されました。

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、ウェイリズ群が 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。ウェイリズ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。ウェイリズ群における、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。

ウェイリズ®について

ウェイリズは、多面的な免疫調節を介して ITP の病態そのものに働きかけることを目指した世界初の共有結合型 BTK 阻害剤です。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。現在、免疫性血小板減少症(ITP)の治療薬として、米国、欧州連合、アラブ首長国連邦、英国および日本で承認されています。

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。

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。

お問い合わせ先

サノフィ株式会社 広報部

e-mail:Communications.SAJ@sanofi.com