

Le rilzabrutinib de Sanofi obtient la désignation de médicament orphelin au Japon pour la maladie liée aux IgG4

- La désignation s'appuie sur les données positives d'une étude de phase 2 sur le rilzabrutinib dans la maladie liée aux IgG4
- Il s'agit de la troisième désignation mondiale de médicament orphelin pour le rilzabrutinib dans le traitement de la maladie liée aux IgG4, soulignant l'engagement de Sanofi dans la lutte contre les maladies rares à médiation immunitaire

Paris, le 2 mars 2026 – Le ministère de la Santé, du Travail et des Affaires sociales (Ministry of Health, Labor and Welfare, MHLW) au Japon a accordé la désignation de médicament orphelin au rilzabrutinib, un nouvel inhibiteur de la tyrosine kinase de Bruton (BTK) covalent, oral et réversible, pour la maladie liée aux IgG4. Il existe encore un besoin médical non satisfait et des options de traitement limitées au Japon pour la maladie liée aux IgG4. Rare et progressive, cette affection chronique à médiation immunitaire voit le système immunitaire attaquer divers tissus et organes, ce qui les endommage sévèrement. Le ministère de la Santé japonais accorde la désignation de médicament orphelin aux médicaments qui traitent des maladies ou affections rares et dont les besoins médicaux ne sont pas satisfaits.

Le rilzabrutinib dans le traitement de la maladie liée aux IgG4 a été évalué dans une étude de phase 2 (identifiant de l'étude clinique : [NCT04520451](#)) et les résultats ont été [présentés](#) lors de l'édition 2025 du Congrès organisé par l'Alliance européenne des associations de rhumatologie (European Alliance of Associations for Rheumatology, EULAR). Chez les patients atteints de maladie liée aux IgG4, un traitement par rilzabrutinib pendant 52 semaines a entraîné une réduction des poussées de la maladie et d'autres marqueurs de la maladie, minimisant ainsi le besoin de traitement par glucocorticoïdes. Le profil de sécurité d'emploi du rilzabrutinib dans l'étude était cohérent avec celui des études précédentes dans d'autres indications, sans nouveau signal de sécurité d'emploi observé. Les événements indésirables apparus sous traitement signalés par > 10 % des patients comprennent la diarrhée, la COVID-19, les étourdissements, la sécheresse buccale et les nausées. Actuellement, le rilzabrutinib dans la maladie liée aux IgG4 est évalué dans l'étude de phase 3 RILIEF (identifiant de l'étude clinique : [NCT07190196](#)).

Le rilzabrutinib est en cours d'étude sur plusieurs maladies à médiation immunitaire rares. En 2025, il a été approuvé pour la thrombocytopénie immunitaire (TPI) aux États-Unis, dans l'UE et aux Émirats arabes unis. Par ailleurs, le rilzabrutinib fait actuellement l'objet d'un examen réglementaire dans le cadre du traitement de la TPI au Japon. Le rilzabrutinib a reçu plusieurs désignations accélérées d'autorités réglementaires de plusieurs pays pour la TPI, la maladie liée aux IgG4, l'anémie hémolytique auto-immune chaude (AHAIC) et la drépanocytose. En dehors des indications de TPI approuvées aux États-Unis, dans l'UE et aux Émirats arabes unis, ces utilisations du rilzabrutinib sont expérimentales et n'ont été évaluées par aucune autorité réglementaire.

À propos du rilzabrutinib

Le rilzabrutinib (Wayrilz là où il est approuvé) est un nouvel inhibiteur covalent réversible de la BTK, administré par voie orale, qui pourrait constituer un nouveau médicament efficace pour plusieurs maladies rares à médiation immunitaire ou inflammatoires, en agissant pour rétablir l'équilibre immunitaire via une modulation multi-immunitaire. La BTK, exprimée dans les cellules B, les macrophages et d'autres cellules immunitaires innées, joue un rôle essentiel dans les différents processus pathologiques à médiation immunitaire et les voies inflammatoires. Grâce à l'application de la technologie TAILORED COVALENCY®, le rilzabrutinib peut inhiber la cible BTK de façon sélective. Le rilzabrutinib est maintenant approuvé pour le traitement de la

thrombocytopénie immunitaire (TPI) aux États-Unis, dans l'UE et aux Émirats arabes unis. L'examen réglementaire pour le traitement de la TPI est actuellement en cours au Japon.

À propos de la IgG4-RD

La maladie liée aux IgG4 est une maladie rare, chronique, progressive, récurrente, à médiation immunitaire, qui peut se manifester dans presque tous les organes et entraîner des lésions organiques et des dysfonctionnements irréversibles, parfois mortels. Les personnes atteintes de maladie liée aux IgG4 présentent des poussées de la maladie, caractérisées par des périodes d'exacerbation des symptômes. En raison de sa rareté et des difficultés diagnostiques, la prévalence mondiale de la maladie liée aux IgG4 est inconnue.

À propos de Sanofi

Sanofi est une entreprise biopharmaceutique qui innove en R&D et exploite l'IA à grande échelle pour améliorer la vie des gens et réaliser une croissance à long terme. Nous appliquons notre connaissance approfondie du système immunitaire pour inventer des médicaments et des vaccins qui traitent et protègent des millions de personnes dans le monde entier, avec un pipeline innovant qui pourrait bénéficier à des millions d'autres. Notre équipe est guidée par un seul objectif : nous poursuivons les miracles de la science pour améliorer la vie des gens ; cela nous inspire pour stimuler le progrès et avoir un impact positif pour nos collaborateurs et les communautés que nous servons, en nous attaquant aux défis les plus urgents de notre époque en matière sanitaire, environnementale, et sociétale.

Sanofi est cotée sur EURONEXT : SAN et NASDAQ : SNY

Relations presse

Sandrine Guendoul | +33 6 25 09 14 25 | sandrine.guendoul@sanofi.com

Evan Berland | +1 215 432 0234 | evan.berland@sanofi.com

Léo Le Bourhis | +33 6 75 06 43 81 | leo.lebourhis@sanofi.com

Victor Rouault | +1 617 356 4751 | victor.rouault@sanofi.com

Timothy Gilbert | +1 516 521 2929 | timothy.gilbert@sanofi.com

Léa Ubaldi | +33 6 30 19 66 46 | lea.ubaldi@sanofi.com

Ekaterina Pesheva | +1 410 926 6780 | ekaterina.pesheva@sanofi.com

Relations avec les investisseurs

Thomas Kudsk Larsen | +44 7545 513 693 | thomas.larsen@sanofi.com

Alizé Kaisserian | +33 6 47 04 12 11 | alize.kaisserian@sanofi.com

Keita Browne | +1 781 249 1766 | keita.browne@sanofi.com

Nathalie Pham | +33 7 85 93 30 17 | nathalie.pham@sanofi.com

Nina Goworek | +1 908 569 7086 | nina.goworek@sanofi.com

Thibaud Châtelet | +33 6 80 80 89 90 | thibaud.chatelet@sanofi.com

Yun Li | +33 6 84 00 90 72 | yun.li3@sanofi.com

Sanofi forward-looking statements

Ce communiqué contient des déclarations prospectives. Ces déclarations ne constituent pas des faits historiques. Ces déclarations comprennent des projections et des estimations ainsi que les hypothèses sur lesquelles celles-ci reposent concernant la mise sur le marché et autre potentiel de ce produit, ou concernant les développements et les recettes futures envisagées pour ce produit. Les termes tels que « s'attendre à », « anticiper », « croire », « avoir l'intention de », « estimer », « planifier », « pouvoir », « envisager », « pourrait », « est conçu pour », « peut », « pourrait », « potentiel », « objectif », « tentative », « cible », « projeter », « stratégie », « s'efforcer », « souhaiter », « prédire », « prévoir », « ambition », « ligne directrice », « chercher à », « devrait », « sera », « but », ou leur forme négative, ainsi que d'autres termes similaires sont destinés à identifier des déclarations prospectives. Bien que la direction de Sanofi estime que ces déclarations prospectives sont raisonnables, les investisseurs sont alertés sur le fait que ces déclarations prospectives sont soumises à de nombreux risques et incertitudes, difficilement prévisibles et généralement en dehors du contrôle de Sanofi, qui peuvent impliquer que les résultats et événements effectifs réalisés diffèrent significativement de ceux qui sont exprimés, induits ou prévus dans les informations et déclarations prospectives. Ces risques, incertitudes et hypothèses comprennent notamment les actions et contretemps réglementaires inattendus, ou généralement des réglementations étatiques, qui peuvent affecter la disponibilité ou le potentiel commercial de ce produit, le fait que ce produit pourrait ne pas rencontrer un succès commercial ; les décisions des autorités concernant l'approbation ou non d'un produit candidat et le calendrier de cette approbation ; les pressions politiques aux États-Unis visant à imposer des prix plus bas pour les médicaments, notamment par la clause dite de la « nation la plus favorisée » pour les médicaments couverts par Medicare ; les incertitudes inhérentes à la recherche et développement, les futures données cliniques et l'analyse des données cliniques existantes relatives à ce produit, y compris postérieures à la mise sur le marché, les problèmes inattendus de sécurité, de qualité ou de production ; la concurrence de manière générale ; les risques associés à la propriété intellectuelle, à tout litige en cours ou futur en la matière et à l'issue de ces litiges, l'instabilité des conditions économiques et de marché, l'impact qu'une crise mondiale pourrait avoir sur Sanofi, ses clients, fournisseurs et partenaires et leur situation financière, ainsi que sur ses employés et sur l'économie mondiale. Ces risques et incertitudes incluent aussi ceux qui sont développés ou identifiés dans les documents publics déposés par Sanofi auprès de l'Autorité des Marchés Financiers (AMF) et de la Securities and Exchange Commission (SEC) aux États-Unis, y compris ceux énumérés dans les rubriques « Facteurs de risque » et « Déclarations prospectives » du Document d'enregistrement universel 2025 de Sanofi, qui a été déposé auprès de l'AMF ainsi que dans les rubriques « Risk Factors » et « Cautionary Statement Concerning Forward-Looking Statements » du rapport annuel 2025 sur Form 20-F de Sanofi, qui a été déposé auprès de la SEC. Sanofi ne prend aucun engagement de mettre à jour les informations et déclarations prospectives sous réserve de la réglementation applicable notamment les articles 223-1 et suivants du règlement général de l'Autorité des marchés financiers. Au regard de ces risques, incertitudes et estimations, il convient de ne pas accorder une confiance excessive aux déclarations prospectives.

Toutes les marques citées dans le présent communiqué de presse sont la propriété du groupe Sanofi.