

Wayrilz de Sanofi est approuvé aux États-Unis comme premier inhibiteur de BTK pour la thrombocytopénie immune

- Ce traitement novateur cible la tyrosine kinase de Bruton (BTK) par une modulation multi-immune pour aider à traiter les causes profondes de la thrombocytopénie immune (TPI)
- L'approbation se fonde sur l'étude de phase 3 LUNA 3 qui a démontré une réponse plaquettaire rapide et durable ainsi qu'une amélioration d'autres symptômes de la TPI
- La TPI est une maladie caractérisée par un dérèglement immunitaire complexe qui entraîne une faible numération plaquettaire, des saignements et une diminution de la qualité de vie ; plus de 25 000 adultes américains pourraient bénéficier de ce traitement avancé

Paris, 29 août 2025. La Food and Drug Administration (FDA) des États-Unis a approuvé Wayrilz (rilzabrutinib) pour les adultes atteints de thrombocytopénie immune persistante ou chronique ayant présenté une réponse insuffisante au traitement antérieur. L'approbation repose sur l'étude pivot de phase 3 LUNA 3, dans laquelle Wayrilz a répondu aux critères d'évaluation principaux et secondaires, montrant un effet positif sur le maintien du taux de plaquettes et sur d'autres symptômes de la TPI.

« La thrombocytopénie immune peut représenter un fardeau à la fois physique et émotionnel, avec des symptômes souvent négligés pouvant affecter divers aspects de la vie quotidienne, » explique **Caroline Kruse**, présidente-directrice générale de l'Association de soutien aux personnes atteintes de troubles plaquettaires (Platelet Disorder Support Association). *« Nous sommes heureux de disposer d'une nouvelle option thérapeutique qui peut contribuer à alléger la charge constante que représente la gestion de la maladie pour les patients et leurs familles. »*

En tant que nouvel inhibiteur oral, réversible, de la tyrosine kinase de Bruton (BTK), Wayrilz peut contribuer à traiter les causes premières de la TPI grâce à une modulation multi-immune qui cible différentes voies du système immunitaire.

« Grâce à son mécanisme d'action différencié, Wayrilz a le potentiel de devenir un traitement de choix pour les patients atteints de thrombocytopénie immune qui n'ont pas présenté une réponse au traitement antérieur, » a expliqué **Brian Foard**, vice-président exécutif responsable de l'entité Médecine de spécialités de Sanofi. *« Son approche fondée sur la modulation multi-immune montre des résultats prometteurs pour cibler les principaux mécanismes de la thrombocytopénie immune, ce qui s'inscrit dans l'engagement de Sanofi à faire évoluer ses solutions thérapeutiques pour répondre aux besoins non satisfaits des patients. Cette approbation met en évidence l'expertise et les ambitions de Sanofi dans le champ des maladies rares et immunologiques. »*

L'étude de phase 3 LUNA 3, [présentée](#) lors du 66^e Congrès annuel de la Société américaine d'hématologie (American Society of Hematology), a évalué l'efficacité et la sécurité d'emploi de Wayrilz comparativement au placebo chez des adultes (n = 202) atteints de TPI persistante ou chronique. Les patients ayant obtenu une réponse en termes de numération plaquettaire à 12 semaines pouvaient poursuivre la période en double insu de 24 semaines (64 % des patients dans le groupe Wayrilz contre 32 % dans le groupe placebo). Les patients traités par Wayrilz ont présenté les résultats suivants comparativement aux patients sous placebo :

- Réponse plaquettaire durable statistiquement significative à la Semaine 25 (23 % des patients du groupe Wayrilz contre 0 % dans le groupe placebo ; p < 0,0001)

- Délai plus court jusqu'à la première réponse plaquettaire (36 jours dans le groupe Wayrilz contre objectif non atteint dans le groupe placebo ; $p < 0,0001$)
- Durée de réponse plaquettaire plus longue (moyenne des moindres carrés de 7 semaines dans le groupe Wayrilz contre 0,7 semaine dans le groupe placebo)

Les patients traités par Wayrilz ont rapporté une amélioration globale de 10,6 points sur neuf mesures liées à la qualité de vie, contre une augmentation de 2,3 points dans le groupe placebo, selon le questionnaire d'évaluation de la TPI par les patients (Immune Thrombocytopenia Patient Assessment Questionnaire), un outil clinique conçu pour évaluer les symptômes de la TPI. Les résultats de cette analyse sont descriptifs et l'étude n'était pas conçue pour en démontrer la signification statistique.

Les effets indésirables les plus fréquents (incidence $\geq 10\%$) sont la diarrhée, les nausées, les maux de tête, les douleurs abdominales et la COVID-19.

*« Traditionnellement, la prise en charge de la thrombocytopénie immune visait principalement à rétablir la numération plaquettaire et à réduire le risque de saignement, ce qui peut entraîner, chez certains patients, des réponses sous-optimales, des symptômes persistants ou des complications thérapeutiques inacceptables », a déclaré le **Dr David Kuter**, directeur de l'hématologie clinique au Massachusetts General Hospital et professeur de médecine à la Harvard Medical School, auteur de l'étude. « Grâce à la modulation multi-immune, Wayrilz peut offrir une nouvelle option aux patients, y compris à ceux qui échouent sous stéroïdes ou ne répondent pas aux traitements existants. »*

Wayrilz a été approuvé aux Émirats arabes unis en juin 2025 pour les patients adultes atteints de TPI persistante ou chronique ayant présenté une réponse insuffisante ou une intolérance à un traitement antérieur. Wayrilz est actuellement en cours d'examen réglementaire pour la TPI dans l'Union européenne (UE) et en Chine.

Il a obtenu les désignations d'évaluation accélérée et de médicament orphelin (Orphan Drug Designation, ODD) de la FDA pour la TPI, ainsi que des désignations similaires au Japon et dans l'UE. Plus récemment, la Food and Drug Administration (FDA) a accordé à Wayrilz la désignation de médicament orphelin pour trois autres maladies rares : l'anémie hémolytique auto-immune de type chaud (warm autoimmune hemolytic anemia, wAIHA), la maladie liée aux IgG4 (IgG4-related disease, IgG4-RD) et la drépanocytose (sickle cell disease, SCD). Wayrilz a également obtenu la désignation d'évaluation accélérée de la FDA et la désignation de médicament orphelin de l'Agence européenne des médicaments (European Medicines Agency, EMA) pour la maladie liée aux IgG4.

Les patients traités par Wayrilz auront accès au programme d'assistance « HemAssist » de Sanofi, qui propose un accompagnement pour tous les traitements du portefeuille Sanofi dédié aux troubles sanguins rares. HemAssist vise à fournir aux patients et à leurs aidants le soutien dont ils ont besoin tout au long de leur parcours thérapeutique, notamment en les aidant à naviguer dans les démarches d'accès et de couverture d'assurance, à déterminer leur admissibilité aux programmes d'aide financière et à accéder à des ressources éducatives. Les coûts du traitement pour les patients varieront en fonction de leur police d'assurance, et les patients non assurés peuvent collaborer avec HemAssist afin d'identifier les options possibles en consultant <https://www.sanofihemassist.com> ou en appelant le 1-833-723-5463.

À propos de l'étude LUNA 3

LUNA 3 (identifiant de l'étude clinique : [NCT04562766](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT04562766)) était une étude randomisée, multicentrique, de phase 3 visant à évaluer l'efficacité et la sécurité d'emploi de Wayrilz par rapport au placebo chez des patients adultes et adolescents atteints de TPI persistante ou chronique. Les patients ont reçu soit Wayrilz 400 mg par voie orale deux fois par jour, soit un placebo, pendant une période de traitement en double aveugle de 12 à 24 semaines, suivie d'une période de traitement en ouvert de 28 semaines, puis d'un suivi de la sécurité d'emploi de 4 semaines ou d'une phase d'extension à long terme. La partie de l'étude portant sur les adolescents est en cours. L'objectif principal est la réponse plaquettaire durable, définie comme la proportion de participants ayant atteint une numération plaquettaire supérieure ou égale à

50 000/ μ L pendant plus des deux tiers d'au moins huit mesures plaquettaires hebdomadaires planifiées (et non manquantes) au cours des 12 dernières semaines de la période de traitement en double aveugle de 24 semaines, en l'absence de traitement de secours. Les objectifs secondaires comprenaient le délai jusqu'à la réponse plaquettaire (numération plaquettaire $\geq 50 \times 10^9/L$ ou comprise entre $30 \times 10^9/L$ et $< 50 \times 10^9/L$ et ayant au moins doublé par rapport à la ligne de base en l'absence de traitement de secours), le nombre de semaines avec maintien d'une réponse plaquettaire spécifique (c'est-à-dire doublée ou dans la plage définie), le recours à un traitement de secours, le score de fatigue physique et le score de saignement.

À propos de Wayrilz

Wayrilz (rilzabrutinib) est le premier inhibiteur de la BTK pour la TPI qui permet de traiter la cause première de la maladie grâce à une modulation multi-immunitaire. Ce traitement novateur est approuvé aux États-Unis pour les adultes atteints de TPI persistante ou chronique qui ont eu une réponse insuffisante à un traitement antérieur. En outre, Wayrilz est approuvé aux Émirats arabes unis pour les patients adultes atteints de TPI persistante ou chronique ayant présenté une réponse insuffisante ou une intolérance à un traitement antérieur. 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® de Sanofi, Wayrilz peut inhiber sélectivement la cible BTK.

Wayrilz est en cours d'étude pour diverses maladies rares, y compris l'anémie hémolytique auto-immune de type chaud, la maladie liée aux IgG4 et la drépanocytose. Ces indications supplémentaires sont actuellement en cours d'investigation et n'ont pas été approuvées par les autorités réglementaires.

À propos de la TPI

La thrombocytopénie immune (TPI) est une maladie caractérisée par un dérèglement immunitaire complexe entraînant une faible numération plaquettaire ($< 100\,000/\mu L$), à l'origine de divers symptômes hémorragiques et d'un risque de thromboembolie. Au-delà des ecchymoses et des saignements, pouvant inclure des épisodes potentiellement mortels comme une hémorragie intracrânienne, les personnes vivant avec une TPI peuvent également présenter une diminution de leur qualité de vie, notamment une fatigue physique et des troubles cognitifs.

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 créer de la croissance à long terme. Grâce à notre compréhension approfondie du système immunitaire, nous concevons des médicaments et des vaccins qui traitent et protègent des millions de personnes dans le monde — et développons un portefeuille d'innovations thérapeutiques qui pourrait en aider des millions d'autres. Animées par une mission commune — poursuivre les miracles de la science pour améliorer la vie des gens — nos équipes œuvrent chaque jour à faire progresser la recherche, avoir un impact positif sur nos collaborateurs et les communautés que nous servons, et répondre aux grands défis de santé, d'environnement et de société de notre époque.

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 | +33 6 70 93 71 40 | 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

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

Felix Lauscher | +1 908 612 7239 | felix.lauscher@sanofi.com

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

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

Tarik Elgoutni | +1 617 710-3587 | tarik.elgoutni@sanofi.com

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

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

Déclarations prospectives de Sanofi

Ce communiqué contient des déclarations prospectives. Ces déclarations ne constituent pas des faits historiques. Ces déclarations comprennent des projections et des estimations concernant la mise sur le marché et autre potentiel de ce produit, ou concernant les recettes futures envisagées pour ce produit. Ces déclarations prospectives peuvent souvent être identifiées par les mots « s'attendre à », « anticiper », « croire », « avoir l'intention de », « estimer », « planifier » ou « espérer », ainsi que par d'autres termes similaires. 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 et incertitudes 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 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 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'AMF et de la SEC, y compris ceux énumérés dans les rubriques « Facteurs de risque » et « Déclarations prospectives » du Document d'enregistrement universel 2024 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 2024 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.

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