

Wayrilz de Sanofi a été approuvé au Japon pour traiter la thrombocytopénie immunitaire

- Wayrilz est un inhibiteur de la BTK qui agit par modulation multi-immune pour aider à traiter les causes sous-jacentes de la thrombocytopénie immunitaire (TPI)
- L'approbation repose sur l'étude de phase 3 LUNA 3 qui a démontré une réponse plaquettaire rapide et durable ainsi qu'une amélioration d'autres symptômes
- La TPI est une maladie rare caractérisée par un dérèglement immunitaire complexe, entraînant une baisse du nombre de plaquettes, des saignements et une diminution de la qualité de vie

Paris, 23 juin 2026. Le ministère de la Santé, du Travail et du Bien-être du Japon a accordé une autorisation de mise sur le marché et de fabrication à Wayrilz (rilzabrutinib), un nouvel inhibiteur oral réversible de la tyrosine kinase de Bruton (iBTK), pour le traitement de la thrombocytopénie immunitaire (TPI) persistante ou chronique chez les patients qui ne répondent pas suffisamment à d'autres traitements ou chez qui la tolérabilité est considérée comme problématique. Wayrilz peut contribuer à traiter les causes sous-jacentes de la maladie grâce à une modulation multi-immune ciblant des voies clés du système immunitaire.

L'approbation de l'UE de Wayrilz repose sur l'étude pivot de phase 3 LUNA 3 (identifiant d'étude clinique : [NCT04562766](#)), 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.

« Pour les patients atteints de TPI, il est extrêmement important d'atteindre une numération plaquettaire proche de la normale et de vivre sans se soucier des saignements. De plus, ces dernières années, il y a eu un intérêt croissant pour d'autres symptômes associés au TPI comme la fatigue », commente le **Dr Hisashi Kato, PhD**, du département de transfusion sanguine et de thérapie cellulaire de l'Hôpital de l'Université d'Osaka, à Suita, au Japon. *« Wayrilz est un nouvel iBTK qui agit par modulation multi-immune pour aider à traiter la cause première de la physiopathologie du TPI. Nous nous attendons à ce que ce traitement devienne une nouvelle option thérapeutique susceptible d'aider les patients dans la prise en charge de leur maladie, notamment en améliorant non seulement le nombre de plaquettes, mais aussi leur qualité de vie. »*

« Même avec les traitements existants, les personnes atteintes de thrombocytopénie immunitaire qui continuent à présenter des symptômes sont confrontées à un grand besoin non satisfait », explique **Manuela Buxo**, vice-présidente exécutive et directrice mondiale des soins spécialisés chez Sanofi. *« Grâce à son mécanisme d'action différencié, Wayrilz facilite une modulation multi-immune pour traiter la physiopathologie sous-jacente de la TPI et offre un nouvel espoir aux patients qui n'ont pas répondu à un traitement antérieur. Cette étape clé souligne l'engagement de Sanofi à proposer des options de traitement innovantes aux patients atteints de maladies rares à travers le monde. »*

L'étude de phase 3 LUNA 3 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 bras Wayrilz contre objectif non atteint dans le bras 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 dans le domaine de la qualité de vie globale, contre une augmentation de 2,3 points dans le groupe placebo, selon le questionnaire d'évaluation de la thrombocytopénie immunitaire par les patients (*Immune Thrombocytopenia Patient Assessment Questionnaire*), un outil clinique conçu pour évaluer les symptômes et les impacts 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 $\geq 10\%$) étaient la diarrhée, les nausées, les maux de tête, les douleurs abdominales et la COVID-19.

Le Wayrilz est étudié dans plusieurs autres maladies rares, y compris la maladie liée à IgG4 (IgG4-RD), l'anémie hémolytique auto-immune chaude (AHAic) et la drépanocytose. Ces indications supplémentaires sont actuellement à l'étude et n'ont pas été approuvées par les autorités réglementaires. Le Japon a désigné Wayrilz comme médicament orphelin de Wayrilz pour le TPI, l'IgG4-RD et l'AHAic.

À propos de la TPI

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

À propos de Wayrilz

Le Wayrilz (rilzabrutinib) 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. L'enzyme 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 Wayrilz peut inhiber la cible BTK de façon sélective. Wayrilz est maintenant approuvé pour le traitement de la TPI aux États-Unis, dans l'UE, aux Émirats arabes unis, au Royaume-Uni et au Japon.

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. 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 bénéficier à des millions d'autres. Animées par une mission commune consistant à 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 | +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

Laura Romby | +33 6 74 16 74 29 | laura.romby@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

Déclarations prospectives - Sanofi

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 sont la propriété du groupe Sanofi.