

## Wayrilz, primer inhibidor de la BTK aprobado en la UE para tratar la púrpura trombocitopénica inmune

- La Comisión Europea aprueba un nuevo tratamiento para una enfermedad rara autoinmune
- La aprobación se basa en el estudio pivotal fase III LUNA 3, que demostró una respuesta plaquetaria rápida y sostenida, así como mejoras en la calidad de vida de los pacientes
- En España, la púrpura trombocitopénica inmune (PTI) afecta a cerca de 28 personas por cada 100.000 habitantes, con mayor prevalencia en mujeres; nuestro país ha tenido un papel activo en la investigación clínica, con participación de siete centros hospitalarios en el estudio LUNA 3
- Wayrilz actúa sobre la tirosina quinasa de Bruton (BTK) mediante modulación inmunitaria múltiple, actuando sobre distintas vías del sistema inmunitario implicadas en la enfermedad

**Barcelona, 13 de enero de 2026.** La Comisión Europea ha aprobado Wayrilz (rيلزبروتينيب)، un nuevo inhibidor covalente reversible de la tirosina quinasa de Bruton (BTK), como tratamiento para la púrpura trombocitopénica inmune (PTI) en pacientes adultos refractarios a otras terapias. La decisión se basa en la [opinión positiva](#) del Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) de la Agencia Europea de Medicamentos (EMA).

Este fármaco puede ayudar a abordar las causas subyacentes de la PTI a través de modulación inmunitaria múltiple, interviniendo en diferentes vías del sistema inmunitario implicadas en la respuesta inmunitaria.

"La PTI está causada por una **disregulación compleja del sistema inmunitario**, que provoca recuentos bajos de plaquetas, sangrado y otros síntomas que a menudo pasan desapercibidos y que pueden afectar tanto a la salud física como a la mental, con un impacto significativo en la calidad de vida", explicó **el Dr. Waleed Ghanima**, director de Investigación y hematólogo consultor del Hospital Østfold (Noruega). "El enfoque tradicional del tratamiento se centra en restaurar el recuento plaquetario y reducir el riesgo de hemorragia, pero muchos pacientes siguen experimentando otros síntomas. Este medicamento ofrece un nuevo enfoque terapéutico al dirigirse a la causa subyacente de la enfermedad mediante **modulación inmunitaria múltiple**, actuando sobre distintas vías del sistema inmunitario para ayudar a abordar la carga multifacética de la enfermedad".

"Su aprobación en la Unión Europea para el tratamiento de la PTI refuerza el compromiso de Sanofi con el desarrollo de terapias innovadoras basadas en un profundo conocimiento del sistema inmunitario, capaces de marcar una diferencia real en la vida de las personas que conviven con enfermedades raras e inflamatorias", señaló **Brian Foard**, vicepresidente ejecutivo y responsable del área Specialty Care en Sanofi. Esta terapia farmacológica presenta un mecanismo de acción diferenciado que permite la modulación inmunitaria múltiple y el abordaje de la patología subyacente de la PTI, ofreciendo a los pacientes una opción terapéutica avanzada para el manejo de la enfermedad".

Su aprobación europea se basa en el estudio pivotal en fase III LUNA 3 (identificador del estudio clínico: [NCT04562766](#)), en el que el tratamiento alcanzó los objetivos primarios y secundarios, demostrando un impacto positivo tanto en el mantenimiento del recuento plaquetario como en otros síntomas asociados a la PTI.

El estudio LUNA 3, [presentado](#) en la 66<sup>a</sup> Reunión Anual de la Sociedad Estadounidense de Hematología y publicado en la revista [Blood](#), evaluó la eficacia y seguridad de este fármaco frente a placebo en pacientes adultos ( $n = 202$ ) con PTI persistente o crónica. Los pacientes que alcanzaron una respuesta plaquetaria a las 12 semanas fueron elegibles para continuar en el periodo doble ciego completo de 24 semanas (64 % de los pacientes del grupo de rilzabrutinib frente al 32% del grupo placebo). En comparación con placebo, los pacientes tratados con este medicamento mostraron:

- Una respuesta plaquetaria duradera y estadísticamente significativa en la semana 25 (23 % frente a 0 %;  $p <0,0001$ )
- Un tiempo más rápido hasta la primera respuesta plaquetaria (36 días frente a no alcanzado;  $p <0,0001$ )
- Una mayor duración de la respuesta plaquetaria (media de mínimos cuadrados de 7 semanas frente a 0,7 semanas)

Además, los pacientes notificaron una mejoría media de 10,6 puntos en la calidad de vida, frente a un aumento de 2,3 puntos en el grupo placebo, según el Cuestionario de Evaluación del Paciente con PTI, una herramienta clínica diseñada para medir el impacto de la enfermedad. Estos resultados son descriptivos y no estaban diseñados para alcanzar significación estadística.

Las reacciones adversas notificadas con mayor frecuencia (incidencia  $\geq 10\%$ ) fueron diarrea, náuseas, cefalea, dolor abdominal y COVID-19, en línea con lo observado en el programa clínico.

Esta terapia farmacológica ya ha sido aprobada en EE. UU. y en los Emiratos Árabes Unidos, y se encuentra actualmente bajo revisión regulatoria para el tratamiento de la PTI en Japón y China. El medicamento ha recibido designaciones de vía rápida y de medicamento huérfano en EE. UU., así como designaciones similares en la UE y Japón. En otras indicaciones en investigación, la FDA le otorgó la designación de medicamento huérfano para tres enfermedades raras adicionales, incluida la anemia hemolítica autoinmunitaria por anticuerpos calientes (AHAIC), la enfermedad relacionada con IgG4 (IgG4-RD) y la anemia drepanocítica (ACD). Wayrilz también recibió la designación de vía rápida de la FDA y la designación de medicamento huérfano de la UE en IgG4-RD.

#### *Acerca del estudio LUNA 3*

LUNA 3 (identificador del estudio clínico: [NCT04562766](#)) es un estudio en fase III, aleatorizado y multicéntrico, diseñado para evaluar su eficacia y seguridad frente a placebo en pacientes adultos y adolescentes con púrpura trombocitopénica inmune (PTI) persistente o crónica. Los pacientes recibieron este medicamento de 400 mg por vía oral dos veces al día o placebo durante un periodo de tratamiento doble ciego de entre 12 y 24 semanas, seguido de un periodo de tratamiento abierto de 28 semanas y, posteriormente, un periodo de seguimiento de seguridad de cuatro semanas o un periodo de extensión a largo plazo. La parte del estudio en adolescentes continúa en curso.

El criterio de valoración principal para la Unión Europea fue la proporción de participantes adultos que alcanzaron recuentos plaquetarios  $\geq 50.000/\mu\text{l}$  durante al menos ocho de las últimas 12 semanas del periodo de tratamiento doble ciego de 24 semanas, en ausencia de tratamiento de rescate.

Los criterios de valoración secundarios incluyeron el tiempo hasta la respuesta plaquetaria (recuento plaquetario  $\geq 50 \times 10^9/\text{l}$  o entre  $30 \times 10^9/\text{l}$  y  $< 50 \times 10^9/\text{l}$ , con al menos el doble respecto al valor basal, en ausencia de tratamiento de rescate), el número de semanas con respuesta plaquetaria mantenida, el uso de tratamiento de rescate, la puntuación de fatiga física y la puntuación de sangrado, evaluadas mediante el cambio respecto al valor basal en la Escala de Sangrado de la Púrpura Trombocitopénica Idiopática (IBLS) en la semana 25.

#### *Acerca de Wayrilz*

Es el primer inhibidor de la tirosina quinasa de Bruton (BTK) para el tratamiento de la PTI, que actúa mediante modulación inmunitaria múltiple sobre distintas vías del sistema inmunitario implicadas en la enfermedad. La BTK, expresada en linfocitos B, macrófagos y otras células inmunitarias innatas, desempeña un papel clave en múltiples procesos inflamatorios y mediados por el sistema inmunitario.

Gracias a la aplicación de la tecnología TAILORED COVALENCY® de Sanofi, puede inhibir de forma selectiva la diana BTK. El medicamento ya ha sido aprobado para el tratamiento de la PTI en Estados Unidos, la Unión Europea y los Emiratos Árabes Unidos, y se encuentra actualmente bajo revisión regulatoria en China y Japón.

#### **Acerca de la púrpura trombocitopénica inmune (PTI)**

La PTI es una enfermedad rara caracterizada por una disregulación compleja del sistema inmunitario que provoca recuentos plaquetarios bajos ( $<100.000/\mu\text{l}$ ), lo que puede dar lugar a diversos síntomas hemorrágicos y a un mayor riesgo de eventos tromboembólicos. Más allá de los hematomas y las hemorragias —que pueden incluir episodios potencialmente mortales, como la hemorragia intracraeal—, las personas que viven con PTI pueden experimentar una reducción significativa de la calidad de vida, incluida fatiga física y deterioro cognitivo.

#### **Acerca de Sanofi**

Sanofi es una compañía biofarmacéutica impulsada por la investigación y el desarrollo (I+D) y potenciada por la inteligencia artificial, comprometida con mejorar la vida de las personas y generar un crecimiento sostenible. Aplicamos nuestro profundo conocimiento del sistema inmunitario para desarrollar medicamentos y vacunas que tratan y protegen a millones de personas en todo el mundo, con una línea innovadora de desarrollo que podría beneficiar a muchos millones más. Nuestro equipo se guía por un único propósito: perseguimos el poder de la ciencia para mejorar la vida de las personas; lo que nos inspira a impulsar el progreso y generar un impacto positivo para nuestra gente y las comunidades a las que servimos, abordando los desafíos sanitarios, medioambientales y sociales más urgentes de nuestro tiempo.

#### **Contactos de prensa**

**Andrea Macarie** | 651 121 030 | [andrea.macarie@sanofi.com](mailto:andrea.macarie@sanofi.com)

**Ferran Vergés** | 605 257 557 | [ferran.verges@sanofi.com](mailto:ferran.verges@sanofi.com)

#### **Declaraciones prospectivas de Sanofi**

Este comunicado de prensa contiene declaraciones prospectivas según se define en la Ley de Reforma de Litigios sobre Valores Privados de 1995, y sus modificaciones. Las declaraciones prospectivas son declaraciones que no constituyen hechos históricos. Estas declaraciones incluyen proyecciones y estimaciones sobre la comercialización y otro potencial del producto, así como sobre posibles ingresos futuros del producto. Las declaraciones prospectivas se identifican generalmente por el uso de términos como "espera", "anticipa", "cree", "pretende", "estima", "planifica" y expresiones similares.

Aunque la dirección de Sanofi considera que las expectativas reflejadas en dichas declaraciones prospectivas son razonables, se advierte a los inversores de que la información y las declaraciones prospectivas están sujetas a diversos riesgos e incertidumbres, muchos de los cuales son difíciles de predecir y, por lo general, están fuera del control de Sanofi, y que podrían provocar que los resultados y los desarrollos reales difieran sustancialmente de los expresados o implícitos en dichas declaraciones prospectivas.

Estos riesgos e incertidumbres incluyen, entre otros, acciones regulatorias inesperadas o retrasos, así como la normativa gubernamental en general, que podrían afectar a la disponibilidad o al potencial comercial del producto; el hecho de que el producto no tenga éxito comercial; las incertidumbres inherentes a la investigación y el desarrollo, incluidos los datos clínicos futuros y el análisis de los datos clínicos existentes relacionados con el producto, incluida la fase de postcomercialización; la aparición de problemas inesperados de seguridad, calidad o fabricación; los riesgos asociados a la propiedad intelectual y a cualquier litigio futuro relacionado, así como el resultado final de dicho litigio; y las condiciones económicas y de mercado inestables, incluido el impacto que las crisis globales puedan tener en Sanofi, en sus clientes, proveedores y otros socios comerciales, así como en sus empleados y en la economía global en su conjunto.

Los riesgos e incertidumbres también incluyen aquellos analizados o identificados en las presentaciones públicas realizadas por Sanofi ante la SEC y la AMF, incluidos los enumerados en los apartados "Factores de riesgo" y "Declaración de advertencia relativa a las declaraciones prospectivas" del informe anual de Sanofi en el Formulario 20-F correspondiente al ejercicio finalizado el 31 de diciembre de 2024. Salvo en la medida en que así lo exija la legislación aplicable, Sanofi no asume obligación alguna de actualizar o revisar ninguna información o declaración prospectiva.

Todas las marcas comerciales mencionadas en este comunicado de prensa son propiedad del grupo Sanofi.