

Wayrilz de Sanofi approuvé dans l'UE comme premier inhibiteur de la BTK pour le traitement de la thrombocytopénie immunitaire (TPI)

- Un traitement novateur cible la BTK grâce à la modulation multi-immune pour aider à traiter les causes sous-jacentes de la TPI
- Approbation fondée sur l'étude de phase 3 LUNA 3, ayant démontré une réponse plaquettaire rapide et durable ainsi qu'une amélioration d'autres symptômes de la TPI
- 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, le 23 décembre 2025 – La Commission européenne a approuvé Wayrilz (rilzabrutinib), un nouvel inhibiteur de la tyrosine kinase de Bruton (BTK) oral et réversible, comme nouveau traitement de la thrombocytopénie immunitaire (TPI) chez les patients adultes réfractaires à d'autres traitements. Cette approbation fait suite à l'[avis positif](#) du Comité des médicaments à usage humain (CHMP) de l'Agence européenne des médicaments.

Wayrilz peut contribuer à traiter les causes sous-jacentes de la TPI grâce à une modulation multi-immune ciblant différentes voies du système immunitaire.

*« La TPI est causée par un dérèglement complexe du système immunitaire, entraînant une baisse du nombre de plaquettes, des saignements et d'autres symptômes souvent négligés qui peuvent affecter à la fois la santé physique et mentale, ce qui a un impact significatif sur la qualité de vie », a déclaré le **Dr Waleed Ghanima**, directeur de la recherche et consultant en hématologie à l'hôpital de Østfold, en Norvège. « L'approche traditionnelle de la prise en charge de la maladie vise à rétablir le nombre de plaquettes et à réduire le risque de saignement, mais les patients peuvent encore présenter d'autres symptômes. Wayrilz offre une nouvelle approche, qui cible la cause sous-jacente de la TPI grâce à une modulation multi-immune permettant de traiter le fardeau à multiples facettes de cette maladie. »*

*« L'approbation de Wayrilz dans l'UE pour le traitement de la TPI souligne l'engagement de Sanofi à tirer parti de ses connaissances du système immunitaire afin de développer des traitements innovants qui ont un impact significatif sur les personnes atteintes de maladies rares et inflammatoires », a déclaré **Brian Foard**, vice-président exécutif, directeur des soins spécialisés chez Sanofi. « Wayrilz a un mécanisme d'action différencié, favorisant une modulation multi-immune pour traiter la pathologie sous-jacente de la TPI, ce qui permet aux patients de bénéficier d'un traitement avancé pour mieux gérer leur maladie. »*

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, démontrant un effet positif sur le maintien du taux de plaquettes ainsi que sur d'autres symptômes de la TPI.

L'étude de phase 3 LUNA 3, [présentée](#) lors du 66e congrès annuel de l'American Society of Hematology, et également publiée dans la revue [Blood](#), 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 ≥ 10 %) sont la diarrhée, les nausées, les maux de tête, les douleurs abdominales et la COVID-19.

Déjà approuvé aux États-Unis et aux Émirats arabes unis (É.A.U.), Wayrilz est actuellement en cours d'examen réglementaire pour la TPI au Japon et en Chine. Il a obtenu les désignations d'évaluation accélérée et de médicament orphelin (*Orphan Drug Designation*, ODD) aux États-Unis pour la TPI, ainsi que des désignations de médicament orphelin similaires dans l'Union européenne et au Japon. Dans le cadre d'autres indications à l'étude, la Food and Drug Administration (FDA) américaine a accordé à Wayrilz le statut d'ODD pour trois maladies rares supplémentaires, à savoir l'anémie hémolytique auto-immune à auto-anticorps chauds (wAHAI), la maladie liée aux IgG4 (IgG4-RD) et la drépanocytose (SCD). Wayrilz a également obtenu la désignation d'évaluation accélérée de la FDA et la désignation de médicament orphelin de l'UE dans le cadre de l'IgG4-RD.

À propos de l'étude LUNA 3

LUNA 3 (identifiant de l'étude clinique : [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 quatre 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 pour l'Union européenne est la proportion de participants ayant atteint une numération plaquettaire supérieure ou égale à $50\,000/\mu\text{L}$ pendant au moins huit des 12 dernières semaines de la période de traitement en aveugle de 24 semaines, en l'absence de traitement de secours. Les objectifs secondaires comprenaient le délai jusqu'à la réponse plaquettaire (numération plaquettaire $\geq 50 \times 10^9/\text{L}$ ou comprise entre $30 \times 10^9/\text{L}$ et $< 50 \times 10^9/\text{L}$ et ayant au moins doublé par rapport à la ligne de base en l'absence de traitement de secours), le nombre de semaines pendant lesquelles la réponse plaquettaire spécifique a été maintenue (c.-à-d. doublée ou dans la plage), le recours à un traitement de secours, le score de fatigue physique et le score de saignements tels qu'évalués par rapport à la ligne de base selon l'échelle IBLIS (*Idiopathic Thrombocytopenic Purpura Bleeding Scale*) à la Semaine 25.

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. 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 la cible BTK de façon sélective. Ce traitement innovant est maintenant approuvé pour la TPI aux États-Unis, dans l'UE et aux Émirats Arabes Unis. L'examen réglementaire pour l'utilisation dans la TPI est actuellement en cours en Chine et au Japon.

Wayrilz est en cours d'étude pour diverses maladies rares, notamment l'anémie hémolytique auto-immune à auto-anticorps chauds (wAHAI), la maladie liée aux IgG4 (IgG4-RD) et la drépanocytose (SCD). Ces indications supplémentaires sont actuellement à l'étude et n'ont pas été approuvées par les autorités réglementaires.

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/ μ 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 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 s'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 | +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

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

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

This press release contains forward-looking statements as defined in the Private Securities Litigation Reform Act of 1995, as amended. Forward-looking statements are statements that are not historical facts. These statements include projections and estimates regarding the marketing and other potential of the product, or regarding potential future revenues from the product. Forward-looking statements are generally identified by the words "expects", "anticipates", "believes", "intends", "estimates", "plans", and similar expressions. Although Sanofi's management believes that the expectations reflected in such forward-looking statements are reasonable, investors are cautioned that forward-looking information and statements are subject to various risks and uncertainties, many of which are difficult to predict and generally beyond the control of Sanofi, that could cause actual results and developments to differ materially from those expressed in, or implied or projected by, the forward-looking information and statements. These risks and uncertainties include among other things, unexpected regulatory actions or delays, or government regulation generally, that could affect the availability or commercial potential of the product, the fact that product may not be commercially successful, the uncertainties inherent in research and development, including future clinical data and analysis of existing clinical data relating to the product, including post marketing, unexpected safety, quality or manufacturing issues, competition in general, risks associated with intellectual property and any related future litigation and the ultimate outcome of such litigation, and volatile economic and market conditions, and the impact that global crises may have on us, our customers, suppliers, vendors, and other business partners, and the financial condition of any one of them, as well as on our employees and on the global economy as a whole. The risks and uncertainties also include the uncertainties discussed or identified in the public filings with the SEC and the AMF made by Sanofi, including those listed under "Risk Factors" and "Cautionary Statement Regarding Forward-Looking Statements" in Sanofi's annual report on Form 20-F for the year ended December 31, 2024. Other than as required by applicable law, Sanofi does not undertake any obligation to update or revise any forward-looking information or statements.

All trademarks mentioned in this press release are the property of the Sanofi group.