

Wayrilz de Sanofi recommandé par le CHMP pour être approuvé par l'UE dans le cadre du traitement de la thrombocytopénie immunitaire

- Recommandation fondée sur l'étude de phase 3 LUNA 3 démontrant une réponse plaquettaire rapide et durable, ainsi que des améliorations significatives en termes de saignements, de qualité de vie et d'autres symptômes de la TPI.
- S'il est approuvé, Wayrilz sera le premier inhibiteur de la BTK pour la TPI dans l'UE, ciblant la cause première de la maladie grâce à une modulation multi-immune.

Paris, le 17 octobre 2025. Le Comité des médicaments à usage humain (CHMP) de l'Agence européenne des médicaments a rendu un avis favorable recommandant l'approbation de Wayrilz (rilzabrutinib) comme nouveau traitement de la thrombocytopénie immunitaire (TPI) chez les patients adultes réfractaires à d'autres traitements. Une décision finale est attendue dans les mois à venir.

*« La recommandation du CHMP concernant l'approbation de Wayrilz constitue une avancée positive pour les personnes atteintes de TPI dans l'UE qui continuent de présenter des symptômes affectant leur vie quotidienne malgré un traitement par d'autres thérapies », a déclaré **Brian Foard**, vice-président exécutif et directeur des Soins spécialisés chez Sanofi. « Grâce à la modulation multi-immunitaire, Wayrilz s'avère prometteur pour traiter la cause profonde de la TPI, à savoir le dérèglement complexe du système immunitaire, renforçant ainsi l'engagement de Sanofi à trouver de nouvelles façons de répondre aux besoins non satisfaits des patients atteints de maladies rares et immunologiques. »*

L'avis favorable du CHMP repose sur l'étude pivot de phase 3 LUNA 3 (identifiant de l'étude clinique : [NCT04562766](#)), [présentée](#) lors de la 66^e réunion annuelle et de l'exposition de l'*American Society of Hematology* en décembre 2024 et également publiée dans [Blood](#). Wayrilz a répondu aux critères d'évaluation principaux et secondaires, faisant de LUNA 3 la première étude de phase 3 à montrer un impact positif durable sur la numération plaquettaire, les saignements et d'autres symptômes de la TPI, grâce à un inhibiteur oral et réversible de la tyrosine kinase de Bruton (BTK).

Wayrilz a déjà été approuvé aux États-Unis et aux Émirats arabes unis. Outre l'UE, Wayrilz fait actuellement l'objet d'un examen réglementaire dans le cadre du traitement de la TPI 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/μL 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 $\geq 50 \times 10^9/L$ 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 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 IBLS (*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. Ce traitement innovant est approuvé aux États-Unis pour les adultes atteints de thrombocytopénie immunitaire (TPI) persistante ou chronique ayant présenté 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 la cible BTK de façon sélective.

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 ($< 100\,000/\mu L$), 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 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 relevant les 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.quendoul@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.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 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.