ノバルティスのianalumab、月1回の投与を4回のみで免疫性血小板減少症患者の病勢コントロールを有意に改善

Dec 24, 2025

プレスリリース

報道関係各位

この資料は、ノバルティス（スイス・バーゼル
）が2025年12月9
日（現地時間）に発表したものを日本語に翻訳（要約）したもので、参考資料として提供するものです。資料の内容およ
び解釈については、英語が優先されます。英
語版は、https://www.novartis.comをご参照ください。なお、本製品は日本では未承認です。

- Ianalumab（9
  mg/kg）とエルトロンボパグの併用投与は、 ITP
  の病勢コントロール率を45%
  改善し
  、プラセボと
  エルトロンボパグの併用投与と比較して病勢コントロール期間を2.8倍に延長[1,2]

- 6
  カ月時点で持続的な血小板反応を示した患者
  はianalumabとエルトロンボパグの併用投与では62%
  、プラセボとエルトロンボパグの併用投与では39%[1,2]

- Ianalumabは、ITPに対する月1回の静脈内投与4
  回で、長期にわたる治療の必要性低減、ITPの持続的な病勢コントロールを実現可能

- ノバルティスは、セカンドラインITPのVAYHIT2
  試験データを、進行中のファーストラインITP試験であるVAYHIT1
  試験の結果とともに、2027年に保健当局に申請予定

2025年12月9日、スイス・バーゼル発 –
ノバルティス
は本日、副腎皮質ステロイ
ドによる治療歴のある免疫性血小板減少症（ITP）患者を対象に、ianalumab
とエルトロンボパグの併用療法を評価する第III相試験である、VAYHIT2
試験の有望な結果を発表しました[1-3]。Ianalumab（9
mg/kg）とエルトロンボパグの併用によって、主要評価項目の治療失敗までの期間（TTF：Time to Treatment
Failure）に基づくITPの病勢コントロールが45%
改善しました。これは、治療期間中および治療期間後に患者が安全な血小板レベルを維持する期間を評価するものです[1,2]。Ianalumab
とエルトロンボパグの併用投与群の治療失敗までの期間の中央値は、プラセボとエルトロンボパグの併用投与群の2.8倍でした（13.0カ月 vs. 4.7カ月）[1,2]。

詳細なデータは、第67回米国血液学会年次総会（ASH）の速報発表で発表され、The New England Journal of Medicine誌にも同時発表される予定です[1,2]。

Mass General Brighamの血液学・腫瘍学Peggy S. Blitz寄付講座教授（Endowed
Chair）兼ハーバード大学医学部医学准教授Hanny Al-Samkari,
M.D.,は次のように述べています。「ITP
の治療は、従来は血小板数を上げる
ことに重点を置いており、ITP
をコントロールするために、しばしば永続的な治療を必要としていました。 これは、多くの患者さんにとって長期治療を必要とし、持続的な疾病負担や疲労のような症状に直面することを意味しています。VAYHIT2
試験の結果は、患者さんが治療から離れている間も病勢が改善し管理されていることを示しており、ITP治療の進歩の可能性を示唆する有望なデータです」。

Ianalumab（9
mg/kg
）
とエ
ルトロン
ボパグの併用投与
群は、プラセボとエルトロンボパグ
の併用投与群と比較して、6
カ月時点で持続的な血小板数の改善を示した患者の割合も有意に高く（62% vs.
39%）、主要な副次評価項目も達成しました[1,2]。PROMIS
Fatigueで評価した疲労の改善は、ianalumab
とエルトロンボパグの併用投与群で7.7
ポイント低下し、プラセボとエルト
ロンボパグの併用投与群の3.6ポイントと比較して、意味のある低下を示しました[1,2]。

ノバルティスのオンコロジー部門グローバル・ヘッドであるMark Rutstein, M.D.,は次のように述べています。「ITPでは、B細胞が血小板破壊に至る自己免疫応答を引き起こし出血リスクが高まります。Ianalumabの新規の2つの作用機序は、B細胞の枯渇と生存シグナルの遮断を目的としています。私たちはITPの治療進歩に対して長年取り組んできました。VAYHIT2試験の結果は、ianalumabが月1回の投与を4回という短期間で持続的なコントロールを達成し、継続的な治療なしで病勢安定を患者さんにもたらす可能性を示したものです」。

VAYHIT2試験では2用量のianalumabを評価しました。Ianalumab 9 mg/kgは、主要評価項目と主要な副次評価項目の両方で統計学的に有意な改善を示しました。Ianalumab 3 mg/kgは、主要評価項目で統計学的に有意な改善を示し、主要な副次評価項目で数値的な改善を示しました[1-3]。

	ianalumab 9 mg/kg ＋エルトロンボパグ（N=50）	ianalumab 3 mg/kg ＋エルトロンボパグ（N=51）	プラセボ＋エルトロンボパグ（N=51）
主要評価項目：治療失敗までの期間（TTF）	13.0カ月 (HR 0.55；95%[a])	推定不能 (HR 0.58；95%[a])	4.7カ月
6カ月時点の安定した奏効（SR6）	62.0% (p=0.023[a])	56.9% (p=0.035[a])	39.2%

a. 統計学的有意性に必要なp値は片側<0.025である

Ianalumabの忍容性は良好で、新たな安全性シグナルは確認されず、副作用プロファイルはこれまでの試験と整合していました[1,2]。有害事象はianalumab群とプラセボ群で同程度であり、ianalumabとエルトロンボパグの併用投与群で高頻度に発現したAEは、頭痛（9 mg/kg群14%、3 mg/kg群10% vs. プラセボ群8%）および注入部位反応（9 mg/kg群14%、3 mg/kg群8% vs. プラセボ群8%）でした[1,2]。好中球減少症*は、プラセボ群（2%）と比較して、ianalumab投与群で高頻度に発現しました（9 mg/kg群16%、3 mg/kg群12%）。ほとんどの被験者は、治療または投与中断を要することなく回復しました[1,2]。治験薬の永続的な中止に至る治療期間中の有害事象は確認されませんでした[1,2]。

VAYHIT2試験は、活動性のシェーグレン病成人患者を対象としたianalumabの有望な2つの試験に続く、3番目の有望な第III相試験です[1,4]。ノバルティスは、進行中のファーストラインITP試験であるVAYHIT1試験の結果とともに、2027年にVAYHIT2試験データを提出する予定です。Ianalumabは、米国食品医薬品局および欧州医薬品庁から希少疾病用医薬品指定を受けています[5,6]。

**好中球、好中球前駆細胞、白血球数の低値に関連する複数項目を含む特に注目すべき有害事象*

Ianalumabについて

Ianalumab（VAY736
）は、新規
の完全ヒトモノクロー
ナル抗体で、シェーグレン病、免疫性血小板
減少症（ITP）、全身性エリテマトーデス（SLE）、ループス腎炎（LN
）、温式自己免疫性溶血性貧血（wAIHA
）、びまん皮膚硬化型全身性強皮症（dcSSc）など、B
細胞に起因
するさまざまな自己免
疫疾患を治療する可能性についても検討され
ています[3,7-13]。抗体依存性細胞傷害（ADCC）によるB細胞の枯渇と、BAFF-R
シグナルの遮断を介したB細胞の活性化と生存の阻害という2
つの作用機序を有しています[8]
。臨床試験では、シェーグレン病、全身性エリテマトーデス、免疫性血小板減少症に対して有望な有効性と良好な安全性プロファイルを示してい
ます[4,14-16]。Ianalumabは、ノバルティスが2024年に買収したMorphoSys
AGとの初期の共同研究に端を発しています[17]。

免疫性血小板減少症について

免疫性血小板減少症（ITP
）は、血液凝固で重要な細胞である血小板を免疫系が誤って標的として破壊する稀な自己免疫疾患です[18]
。これにより、長時間の出血、易出血および慢性疲労などの症状が発現し、日常生活に重大な影響を及ぼす可能性があります[18,19]。

選択可能な治療を行っても、多くのITP
患者は長期にわたる疾
患コントロールができずに何度も治療を繰り
返します[20]
。現在の治療選択肢は、しばしば安全な血小板レベルの維持と出血合併症の予防に重点を置いており、継続的な使用を必要とします[20,21]
。
長期
にわたる
治療と予測不能な
再燃の負担は生活の質に多大な影響
を与える可能性があります[19,22]
。持続的な効果があり、長期間の治療の負担を軽減する治療が必要とされています[23]。

VAYHIT2試験について

VAYHIT2（NCT05653219
）試験は、副腎皮質ステロイドによるファーストライン治療が奏効しなかった免疫性血小板減少症（ITP）成人患者（血小板数<30 ×10^9/L）を対象に、2用量のianalumab
とエルトロン
ボパグを併用投与し、プラ
セボと比較して有効性と安全性を評価する第III
相、多施設共同、ランダム化、二重盲検試験です[3]
。患者はエルトロンボパグとの併用で、ianalumab 3 mg/kg、ianalumab 9

mg/kg、またはプラセボの月1回静脈内投与を4回受ける群に、1:1:1
の比率で無作為割付けされました[3]
。主要評価項目は、ランダム化から次のいずれかまでの期間と定義した治療失敗までの期間でした：ランダム化から8週以降の血小板数30 ×10^9/L未満、ランダム化から8
週以降のレスキュー治療、任意の時点の新規ITP
治療の開始、エル
トロンボパグの漸減・中止に不適格
または不可能、または死亡[3]。主要な副次評価項目は、6
カ月時点の安定した血小板反応が認めら
れた患者の割合（%）としました[3]
。他の副次評価項目は、血小板反応の程度と持続期間、生活の質および疲労を評価する患者報告アウトカムなどでした[3]。

免責事項

本リリースには、現時点における将来の予想と期待が含まれています。したがって、その内容に関して、また、将来の結果については、不確実な要素や予見できないリスクなどにより、現在の予想と異なる場合があることをご了承ください。なお、詳細につきましては、ノバルティスが米国証券取引委員会に届けておりますForm20-Fをご参照ください。

ノバルティスについて

ノバルティスは、革新的医薬品の研究、開発、製造、販売を行うグローバル製薬企業です。ノバルティスは、患者さん、医療従事者、社会全体と共に病に向き合い、人びとがより充実した健やかな毎日を過ごせるため「医薬の未来を描く（Reimagining
Medicine
）」ことを追求しています。ノ
バルティスの医薬品は、世界中で約3
億人の患者さんに届け
られています。詳細はホームページをご覧ください。https://www.novartis.com
ノバルティスのソーシャルメディアもご覧ください。 Facebook LinkedIn X/Twitter Instagram

以上

参考資料

1. Primary results from VAYHIT2, a randomized, double-blind, phase 3 trial of ianalumab plus eltrombopag versus placebo plus eltrombopag in patients with primary immune thrombocytopenia (ITP) who failed first-line corticosteroid treatment. Oral presentation at ASH Annual Meeting & Exposition: December 6-9, 2025.
2. Cuker A, Stauch T,Cooper N et al. Ianalumab plus Eltrombopag in Immune Thrombocytopenia. *N Engl J Med*. DOI: 10.1056/NEJMoa2515168
3. Clinicaltrials.gov. NCT05653219. A Study of Efficacy and Safety of Ianalumab Versus Placebo in Addition to Eltrombopag in Primary Immune Thrombocytopenia Patients Who Failed Steroids (VAYHIT2). Accessed November 14, 2025. https://clinicaltrials.gov/study/NCT05653219
4. Thomas GB, Xavier M, Stephanie F et al. Ianalumab demonstrates significant reduction in disease activity in patients with Sjögren ’ s Disease: Efficacy and safety results from two

global Phase 3, randomized, placebo-controlled double-blind studies (NEPTUNUS-1 and NEPTUNUS-2). Presented at the American College of Rheumatology (ACR) Congress; October 24-29, 2025; Chicago, Illinois.
5. US Food and Drug Administration. Orphan drug designation: ianalumab—treatment of primary immune thrombocytopenia. Published February 13, 2025. Accessed November 14, 2025. https://www.accessdata.fda.gov/scripts/opdlisting/oopd/detailedIndex.cfm?cfgridkey=1018924
6. European Commission. Community register of orphan medicinal products: ianalumab. Updated October 14, 2025. Accessed November 14, 2025. https://ec.europa.eu/health/documents/community-register/html/o3036.htm
7. Clinicaltrials.gov. NCT05648968. A Study of Efficacy and Safety of Ianalumab in Previously Treated Patients With Warm Autoimmune Hemolytic Anemia (VAYHIA) Accessed November 14, 2025. https://clinicaltrials.gov/study/NCT05648968
8. Dörner T, Bowman SJ, Fox R, et al. Safety and Efficacy of Ianalumab in Patients With Sjögren's Disease: 52-Week Results From a Randomized, Placebo-Controlled, Phase 2b Dose-Ranging Study. *Arthritis Rheumatol*. 2025;77(5):560-570. doi:10.1002/art.43059
9. Clinicaltrials.gov. NCT05350072. Two-arm Study to Assess Efficacy and Safety of Ianalumab (VAY736) in Patients With Active Sjogren's Syndrome (NEPTUNUS-1). Accessed November 14, 2025. https://clinicaltrials.gov/study/NCT05350072
10. Clinicaltrials.gov. NCT05349214. Three-arm Study to Assess Efficacy and Safety of Ianalumab (VAY736) in Patients With Active Sjogren's Syndrome (NEPTUNUS-2). Accessed November 14, 2025. https://clinicaltrials.gov/study/NCT05349214
11. Clinicaltrials.gov. NCT05639114. Phase 3 Study to Evaluate Two Regimens of Ianalumab on Top of Standard-of-care Therapy in Patients With Systemic Lupus Erythematosus (SIRIUS-SLE 1) (SIRIUS-SLE 1). Accessed November 14, 2025. https://www.clinicaltrials.gov/study/NCT05639114
12. Clinicaltrials.gov. NCT05126277. Safety, Efficacy and Tolerability of Ianalumab Versus Placebo, Combination With SoC Therapy, in Participants With Active Lupus Nephritis (SIRIUS-LN). Accessed November 14, 2025. https://clinicaltrials.gov/study/NCT05126277
13. Clinicaltrials.gov. NCT06470048. A Clinical Study to Evaluate Ianalumab in Participants With Diffuse Cutaneous Systemic Sclerosis. Accessed November 14, 2025. https://clinicaltrials.gov/study/NCT06470048
14. Bowman SJ, Fox R, Dörner T, et al. Safety and efficacy of subcutaneous ianalumab (VAY736) in patients with primary Sjögren's syndrome: a randomised, double-blind, placebo-controlled, phase 2b dose-finding trial. *Lancet*. 2022;399(10320):161-171. doi:10.1016/S0140-6736(21)02251-0
15. Shen N, Ignatenko S, Gordienko A, et al. Phase 2 Safety and Efficacy of Subcutaneous (s.c.) Dose Ianalumab (VAY736; Anti-BAFFR mAb) Administered Monthly over 28 Weeks in Patients with Systemic Lupus Erythematosus (SLE) of Moderate-to-Severe Activity [abstract]. *Arthritis Rheumatol*. 2023; 75 (suppl 9). Accessed November 14, 2025. https://acrabstracts.org/abstract/phase-2-safety-and-efficacy-of-subcutaneous-s-c-dose-ianalumab-vay736-anti-baffr-mab-administered-monthly-over-28-weeks-in-patients-with-systemic-lupus-erythematosus-sle-of-moderate-to-severe/
16. Bradbury C, Elverdi T, Trautmann K, et al. A phase 2 study of ianalumab in patients with primary immune thrombocytopenia previously treated with at least two lines of therapy (VAYHIT3). *HemaSphere*. 2025;9(Suppl 1):Abstract S238. Presented at European Hematology Association (EHA) Congress, June 12-15, 2025. Milan, Italy. Accessed November 14, 2025.

https://library.ehaweb.org/eha/2025/eha2025-congress/4159389/charlotte.bradbury.a.phase.2.study.of.ianalumab.in.patients.with.primary.html
17. Novartis. Press release. Novartis to strengthen oncology pipeline with agreement to acquire MorphoSys AG for EUR 68 per share or an aggregate of EUR 2.7bn in cash. February 5, 2024. Accessed November 14, 2025. https://www.novartis.com/news/media-releases/novartis-strengthen-oncology-pipeline-agreement-acquire-morphosys-ag-eur-68-share-or-aggregate-eur-27bn-cash
18. Rodeghiero F, Stasi R, Gernsheimer T, et al. Standardization of terminology, definitions and outcome criteria in immune thrombocytopenic purpura of adults and children: report from an international working group. *Blood*. 2009;113(11):2386-2393. doi:10.1182/blood-2008-07-162503
19. Kuter DJ, Mathias SD, Rummel M, et al. Health-related quality of life in nonsplenectomized immune thrombocytopenia patients receiving romiplostim or medical standard of care. *Am J Hematol.* 2012;87:558-61
20. Kuter DJ. The treatment of immune thrombocytopenia (ITP)—focus on thrombopoietin receptor agonists. *Ann Blood*. 2021;6:27. doi:10.21037/aob-2021-itp-04
21. Provan D, Newland AC. Current management of primary immune thrombocytopenia. *Adv Ther*. 2015;32(10):875-887. doi:10.1007/s12325-015-0240-z
22. Cooper N, Kruse A, Kruse C, et al. Immune thrombocytopenia (ITP) World Impact Survey (I-WISh): impact of ITP on health-related quality of life. *Am J Hematol.* 2021;96(2):199-207. doi:10.1002/ajh.26083
23. Mingot-Castellano ME, Bastida JM, Caballero-Navarro G, et al. Novel therapies to address unmet needs in ITP. *Pharmaceuticals (Basel).* 2022;15(7):779. doi:10.3390/ph15070779

印刷するには以下の印刷ボタンをクリックし、次のページで右クリックの上、メニューの「印刷」を選択してください。
また、この文章は印刷ページにも表示されます。

Source URL: *https://prod1.novartis.com/jp-ja/news/media-releases/prkk20251224*

List of links present in page

- https://prod1.novartis.com/jp-ja/jp-ja/news/media-releases/prkk20251224
- https://www.novartis.com/
- https://www.nejm.org/doi/full/10.1056/NEJMoa2515168

- https://www.facebook.com/novartis/
- https://jp.linkedin.com/company/novartis?trk=public_profile_experience-item_profile-section-card_image-click
- https://twitter.com/Novartis
- https://www.instagram.com/accounts/login/?next=https%3A//www.instagram.com/novartis/%3Fnext%3D%252Fpmineiro%252F%26hl%3Dja
- https://clinicaltrials.gov/study/NCT05653219
- https://www.accessdata.fda.gov/scripts/opdlisting/oopd/detailedIndex.cfm?cfgridkey=1018924
- https://ec.europa.eu/health/documents/community-register/html/o3036.htm
- https://clinicaltrials.gov/study/NCT05648968
- https://clinicaltrials.gov/study/NCT05350072
- https://clinicaltrials.gov/study/NCT05349214
- https://www.clinicaltrials.gov/study/NCT05639114
- https://clinicaltrials.gov/study/NCT05126277
- https://clinicaltrials.gov/study/NCT06470048
- https://acrabstracts.org/abstract/phase-2-safety-and-efficacy-of-subcutaneous-s-c-dose-ianalumab-vay736-anti-baffr-mab-administered-monthly-over-28-weeks-in-patients-with-systemic-lupus-erythematosus-sle-of-moderate-to-severe/
- https://library.ehaweb.org/eha/2025/eha2025-congress/4159389/charlotte.bradbury.a.phase.2.study.of.ianalumab.in.patients.with.primary.html
- https://www.novartis.com/news/media-releases/novartis-strengthen-oncology-pipeline-agreement-acquire-morphosys-ag-eur-68-share-or-aggregate-eur-27bn-cash