



## La FDA approuve Cerdelga™ (eliglustat) de Genzyme en gélules

*- Le seul traitement oral de première ligne pour les patients adultes atteints de la maladie de Gaucher de type 1 -*

**Paris, le 19 août 2014** - Sanofi (EURONEXT : SAN et NYSE : SNY) et sa filiale Genzyme annoncent aujourd'hui que la Food and Drug Administration (FDA) a approuvé Cerdelga™ (eliglustat) en gélules, le seul traitement de première ligne par voie orale pour certains patients adultes atteints de la maladie de Gaucher de type 1. Un petit nombre de patients adultes qui métabolisent Cerdelga plus rapidement ou selon une cinétique indéterminée, identifiables par un test génétique de laboratoire bien établi, ne pourront pas bénéficier du traitement Cerdelga, lequel devrait être disponible d'ici un mois aux Etats-Unis.

*« Cerdelga représente une nouvelle option thérapeutique importante pour les patients atteints de maladie de Gaucher de type 1 », a déclaré Rhonda Buyers, Directrice Générale de la National Gaucher Foundation (Etats-Unis). « Le traitement enzymatique substitutif représente le traitement standard de la maladie de Gaucher ; les patients reçoivent des perfusions régulières durant toute leur vie. Avec l'autorisation par la FDA du traitement de première ligne par voie orale, Cerdelga pourrait s'avérer une solution thérapeutique précieuse pour les patients atteints de cette maladie grave. »*

Cela fait quinze ans que Genzyme travaille à la mise au point d'un traitement par voie orale de la maladie de Gaucher, avec des recherches en chimie, des essais précliniques et les différentes phases de développement clinique. Le programme de développement clinique de Cerdelga est le plus vaste jamais conduit sur la maladie de Gaucher, avec environ 400 patients traités dans 29 pays.

*« Il y a plus de vingt ans, Genzyme proposait le premier traitement au monde pour la maladie de Gaucher. Nous sommes fiers de poursuivre dans cette voie et de continuer à améliorer la vie des patients atteints de la maladie de Gaucher par nos recherches en cours et le développement de nouveaux traitements », a indiqué le Dr David Meeker, Directeur Général de Genzyme. « L'autorisation de Cerdelga illustre notre engagement indéfectible à l'égard des patients atteints de la maladie de Gaucher. »*

L'approbation de la FDA se fonde sur les données d'efficacité positives de deux études de phase 3 consacrées à Cerdelga : l'une a inclus des patients n'ayant jamais été traités auparavant et l'autre a inclus des patients ayant déjà reçu des enzymothérapies de substitution. Le dossier d'autorisation de mise sur le marché comporte également les données relatives à l'efficacité sur une durée de quatre ans provenant de l'étude de phase 2 consacrée à Cerdelga.

Les effets indésirables les plus fréquents de Cerdelga ( $\geq 10\%$ ) sont : fatigue, maux de tête, nausées, diarrhée, mal de dos, douleurs aux extrémités et douleurs abdominales hautes.

---

Cerdelga est un analogue du céramide, et un inhibiteur de la glucosylcéramide synthase ( $IC_{50} = 10 \text{ ng/mL}$ ) dont la distribution tissulaire est très large. Il réduit ainsi la production du glucosylcéramide dans les cellules et les tissus des personnes atteintes de la maladie de Gaucher. Pour plus d'informations, consultez [cerdelga.com](http://cerdelga.com).

Pour obtenir plus de détails sur les précautions et les mises en garde concernant le produit, ainsi que la liste complète des réactions indésirables, [voir les informations complètes de prescription](#).

Des demandes d'autorisation de mise sur le marché sont en cours d'évaluation par l'Agence européenne des médicaments (EMA) ainsi que d'autres autorités réglementaires.

### **A propos de la maladie de Gaucher**

La maladie de Gaucher est une maladie génétique qui touche moins de 10 000 personnes dans le monde. Elle se caractérise par un déficit en glucocérébrosidase (ou  $\beta$ -glucosidase), enzyme qui clive une certaine catégorie de molécules lipidiques. En conséquence, les cellules gorgées de lipides (appelées cellules de Gaucher) s'accumulent dans différentes parties du corps, principalement dans la rate, le foie et la moelle osseuse. Cette accumulation de cellules de Gaucher peut entraîner une augmentation du volume de la rate et du foie, une anémie, des saignements et des hématomes, des anomalies osseuses et un certain nombre d'autres signes et symptômes. La forme la plus courante de la maladie de Gaucher, celle de type 1, n'affecte généralement pas le cerveau.

### **A propos de Cerdelga**

Cerdelga (eliglustat), nouvel analogue du glucosylcéramide administré par voie orale, a été conçu pour inhiber partiellement l'enzyme glucosylcéramide synthase, et réduire la production du glucosylcéramide, substance qui s'accumule dans les cellules et les tissus des personnes atteintes de la maladie de Gaucher. Le concept a été développé à l'origine par feu le docteur Norman Radin de l'Université du Michigan. Suite à un vaste programme couvrant la recherche préclinique et les premières phases de recherche clinique, Cerdelga a fait l'objet du plus vaste programme d'études cliniques de phase 3 jamais réalisé dans la maladie de Gaucher.

### **A propos de Genzyme, une entreprise du Groupe Sanofi**

Genzyme a ouvert la voie dans le développement et la distribution de thérapies innovantes pour les patients atteints de maladies graves et invalidantes depuis plus de 30 ans. Pour atteindre ses objectifs, l'entreprise mène des recherches de dimension mondiale et s'appuie sur l'engagement et la compassion de ses collaborateurs. Ses produits et services se concentrent sur les maladies rares et la sclérose en plaques afin d'avoir un impact positif sur la vie des patients et de leurs familles. Cet objectif oriente et inspire chacune des actions de l'entreprise. Le portefeuille de produits innovants de Genzyme est commercialisé dans le monde entier et représente des avancées majeures et salvatrices en médecine. Genzyme fait partie du Groupe Sanofi et bénéficie à ce titre de la taille et des ressources de l'une des plus grandes entreprises pharmaceutiques du monde, avec laquelle elle partage le même engagement au service des patients et la volonté d'améliorer leur qualité de vie. Pour plus d'informations sur Genzyme : [www.genzyme.com](http://www.genzyme.com).

## A propos de Sanofi

Sanofi est un leader mondial intégré de la santé qui recherche, développe et commercialise des solutions thérapeutiques centrées sur les besoins des patients. Sanofi possède des atouts fondamentaux dans le domaine de la santé avec sept plateformes de croissance : la prise en charge du diabète, les vaccins humains, les produits innovants, la santé grand public, les marchés émergents, la santé animale et le nouveau Genzyme. Sanofi est coté à Paris (EURONEXT : SAN) et à New York (NYSE : SNY).

### **Déclarations prospectives**

*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, des déclarations portant sur des projets, des objectifs, des intentions et des attentes concernant des résultats financiers, des événements, des opérations, des services futurs, le développement de produits et leur potentiel ou les performances futures. Ces déclarations prospectives peuvent souvent être identifiées par les mots « s'attendre à », « anticiper », « croire », « avoir l'intention de », « estimer » ou « planifier », 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 incertitudes inhérentes à la recherche et développement, les futures données cliniques et analyses, y compris postérieures à la mise sur le marché, les décisions des autorités réglementaires, telles que la FDA ou l'EMA, d'approbation ou non, et à quelle date, de la demande de dépôt d'un médicament, d'un procédé ou d'un produit biologique pour l'un de ces produits candidats, ainsi que leurs décisions relatives à l'étiquetage et d'autres facteurs qui peuvent affecter la disponibilité ou le potentiel commercial de ces produits candidats, l'absence de garantie que les produits candidats s'ils sont approuvés seront un succès commercial, l'approbation future et le succès commercial d'alternatives thérapeutiques, la capacité du Groupe à saisir des opportunités de croissance externe, l'évolution des cours de change et des taux d'intérêt, l'impact de la politique de maîtrise des coûts opérationnels et leur évolution, le nombre moyen d'actions en circulation ainsi que 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 de référence 2013 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 2013 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.*

---

### **Contacts :**

#### **Sanofi Relations Presse**

Greg Miley

Tel: +33 (0) 1 53 77 46 46

E-mail: [mr@sanofi.com](mailto:mr@sanofi.com)

#### **Sanofi Relations Investisseurs**

Sébastien Martel

Tel: +33 (0) 1 53 77 45 45

E-mail: [ir@sanofi.com](mailto:ir@sanofi.com)

#### **Genzyme Media Relations**

Lori Gorski

Tel : (617) 768-9344

E-mail : [lori.gorski@genzyme.com](mailto:lori.gorski@genzyme.com)