



La FDA accepte l'évaluation accélérée de la thérapie expérimentale de Genzyme par réduction de substrat pour le traitement de la maladie de Fabry

Paris - Le 28 avril 2015 - [Sanofi](#) et sa filiale [Genzyme](#) annoncent que la Food and Drug Administration (FDA) des États-Unis a accordé une procédure d'évaluation accélérée au GZ/SAR402671, une nouvelle thérapie expérimentale orale par réduction de substrat pour le traitement de la maladie de Fabry.

La procédure d'évaluation accélérée de la FDA est conçue pour faciliter les échanges fréquents avec l'équipe de la FDA chargée d'évaluer les nouveaux médicaments en vue d'accélérer leur développement clinique, et d'évaluer les demandes de mise sur le marché de nouveaux médicaments (NDA, *New Drug Application*) destinés au traitement de maladies graves ou potentiellement mortelles et permettant de répondre à des besoins médicaux insatisfaits. Elle permet aussi de présenter des sections du dossier de NDA de manière échelonnée avant la soumission du dossier complet. Genzyme recrute actuellement des patients pour son essai international, multicentrique de phase 2a du GZ/SAR402671, dans lequel neuf patients adultes de sexe masculin naïfs de traitement atteints de la maladie de Fabry devraient être recrutés.

La maladie de Fabry est une maladie de surcharge lysosomale rare caractérisée par l'accumulation d'une substance grasse appelée globotriaosylcéramide ou GL-3 (ou Gb3) dans l'organisme. GZ/SAR402671 est un inhibiteur de la synthèse du glucosylcéramide qui bloque la formation de glucosylcéramide (GL-1), un intermédiaire essentiel de la synthèse de GL-3.

« L'accès à la procédure d'évaluation accélérée est une étape importante et nous sommes reconnaissants à la FDA de nous avoir accordé ce statut », a déclaré le Dr Richard Peters, Ph.D., Vice-Président par intérim de la Division Maladies Rares de Genzyme. « Nous sommes impatients de poursuivre les recherches sur cette petite molécule dans l'objectif de proposer davantage d'options thérapeutiques aux patients atteints de la maladie de Fabry, dans les meilleurs délais possibles. »

A propos de la maladie de Fabry

La maladie de Fabry est une maladie évolutive héréditaire caractérisée par l'accumulation excessive du lipide GL-3 dans différents organes et tissus. Ses manifestations précoces se caractérisent par des douleurs importantes, des troubles gastro-intestinaux, ainsi que d'autres symptômes. Au fil du temps, les patients peuvent présenter des troubles rénaux et cardiaques et des accidents vasculaires cérébraux pouvant engager leur pronostic vital. Les patients atteints de cette maladie ont généralement une espérance de vie réduite. La maladie de Fabry touche les hommes comme les femmes et on dénombre approximativement 10 000 patients diagnostiqués dans le monde.

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.

Genzyme® est une marque déposée de Genzyme Corporation. Tous droits réservés.

A propos de Sanofi

Sanofi, un leader mondial de la santé, 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 2014 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 2014 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

Jack Cox
Tél: +33 (0) 1 53 77 46 46
Email: mr@sanofi.com

Sanofi Relations Investisseurs

Sébastien Martel
Tél: +33 (0) 1 53 77 45 45
Email: ir@sanofi.com

Genzyme Relations Presse

Lori Gorski
Tél: +1 617 768 9344
Email: Lori.Gorski@genzyme.com