

Sanofi présente les données intermédiaires positives de sécurité et d'efficacité à long terme de l'étude de prolongation de phase II du fitusiran chez des personnes atteintes d'hémophilie A ou B, avec ou sans inhibiteurs

- * Le fitusiran, un nouvel agent thérapeutique ARNi en développement, a le potentiel de transformer le traitement de l'hémophilie, à raison d'une dose mensuelle par voie sous-cutanée chez les personnes atteintes d'hémophilie A ou B, avec ou sans inhibiteurs.
- * Les données exploratoires à long terme montrent qu'un traitement prophylactique par fitusiran permet d'obtenir une réduction soutenue du taux annuel de saignements chez les patients atteints d'hémophilie A ou B, modérée à sévère, avec ou sans inhibiteurs.

Paris – Le 19 juin 2020 – De nouvelles données relatives à l'efficacité et à la sécurité du fitusiran, un agent thérapeutique expérimental fondé sur l'ARN interférent (ou ARNi) pour le traitement des hémophilies A et B, avec ou sans inhibiteurs, ont été présentés aujourd'hui dans le cadre d'une session réservée à l'actualité de la recherche du Sommet virtuel de la Fédération mondiale de l'hémophilie.

Les résultats intermédiaires à long terme de l'étude de prolongation de phase II, en ouvert, confortent les données selon lesquelles le fitusiran a le potentiel de rétablir l'équilibre hémostatique et de réduire le taux annualisé de saignements sur une période pouvant aller jusqu'à 57 mois.

« Ces nouvelles données intermédiaires confortent le potentiel du fitusiran et l'impact transformateur qu'il peut avoir sur la prise en charge de l'hémophilie grâce à une protection soutenue contre les saignements, pouvant être administré une fois par mois par voie sous cutanée », a annoncé Dietmar Berger, Responsable Monde du Développement de Sanofi. « Nous poursuivons le développement de notre portefeuille de traitements à base de facteurs et de non-facteurs qui pourrait offrir un large éventail d'options thérapeutiques aux personnes hémophiles de manière à répondre au plus près à leurs besoins. Nous continuons d'étudier le profil clinique du fitusiran dans le cadre de notre programme de phase III ATLAS, dont nous attendons les résultats dans le courant du premier semestre de 2021, et sommes impatients de pouvoir proposer ce nouveau traitement aux patients du monde entier. »

Étude de prolongation de phase II en ouvert

L'étude de prolongation de phase II en ouvert a pour but d'évaluer l'efficacité et la sécurité à long terme du fitusiran chez des patients atteints d'hémophilie A ou B, modérée à sévère, avec ou sans inhibiteurs, ayant participé à une étude antérieure sur le fitusiran. Les données sont celles de 34 patients inclus dans l'étude ayant reçu des doses fixes mensuelles de 50 mg ou de 80 mg de fitusiran, qui ont été suivis pendant une durée allant jusqu'à 4,7 ans, avec une exposition médiane au médicament de 2,6 ans. À la date à laquelle les données ont cessé d'être prises en compte (10 mars 2020), les résultats intermédiaires étaient les suivants :

- L'administration d'une dose mensuelle de fitusiran par voie sous-cutanée à des patients atteints d'hémophilie A ou B, avec ou sans inhibiteurs, a permis d'observer une baisse soutenue de l'antithrombine (réduction d'environ 75 % par rapport aux valeurs initiales) et d'obtenir des valeurs maximales médianes de thrombine situées dans l'extrémité inférieure de la fourchette de valeurs observées chez les volontaires en bonne santé.
- Un taux annuel médian de saignements global de 0,84. Le taux annuel médian de saignements dans le sous-groupe sans inhibiteurs s'est établi à 1,01, comparativement à un taux annuel médian de saignements de 2,0 avant l'étude pour les patients ayant déjà reçu un traitement prophylactique, et de 12,0 pour les patients traités antérieurement à la demande. Dans le sous-groupe avec inhibiteurs, le taux annuel médian de saignements s'est établi à 0,44, comparativement à un taux de 42,0 avant l'étude.
- Faible taux global de saignements spontanés (médiane globale de 0,38). Le taux annuel médian de saignements spontanés, par sous-groupes, s'est établi à 0,33 (groupe sans inhibiteurs) et à 0,39 (groupe avec inhibiteurs).
- Aucune formation d'anticorps dirigés contre le médicament n'a été détectée.

À la date à laquelle les données ont cessé d'être prises en compte (10 mars 2020), le fitusiran avait été généralement bien toléré. Parmi les événements indésirables graves liés au fitusiran qui ont été signalés figurent un cas de thrombose atriale et un cas d'élévation des transaminases. Un décès est survenu dans l'étude en 2017 causé par une thrombose des sinus veineux cérébraux initialement diagnostiquée comme une hémorragie sous-arachnoïdienne et à la suite de laquelle les recommandations relatives à la prise en charge des saignements ont été actualisées en décembre 2017. Les événements indésirables les plus fréquemment rapportés (≥ 5 des patients) ont été l'élévation du taux d'alanine aminotransférase (29 %), les maux de tête (27 %), un érythème au site d'injection (21 %), les rhinopharyngites (21 %), les infections des voies respiratoires supérieures (18 %), la diarrhée (18 %), les arthralgies (18 %), les lombalgies (18 %) et une élévation des transaminases (15 %).

Une nouvelle approche expérimentale du traitement des hémophilies A et B

Les hémophilies A et B se caractérisent par un déséquilibre hémostatique causé par un déficit, respectivement, en facteur VIII et en facteur IX, entraînant une production insuffisante de thrombine. Tous les traitements de l'hémophilie visent à rétablir l'équilibre hémostatique et à améliorer la production de thrombine.

Le fitusiran est un ARN interférent thérapeutique expérimental (ou ARNi) pour le traitement des hémophilies A et B, avec ou sans inhibiteurs. Le fitusiran cible l'antithrombine, une protéine qui inhibe la coagulation du sang, dans le but de promouvoir une production suffisante de thrombine, de rééquilibrer naturellement l'hémostase et de prévenir les saignements. Le fitusiran est développé au moyen de la technologie de stabilisation améliorée du conjugué (*Enhanced Stabilization Chemistry*) ESC-GalNAc développée par Alnylam, permettant son administration par voie sous-cutanée, ainsi qu'une puissance et une durée d'action augmentées. Le fitusiran fait actuellement l'objet d'études cliniques et aucun organisme de réglementation ne l'a encore évalué.

À propos de Sanofi

La vocation de Sanofi est d'accompagner celles et ceux confrontés à des difficultés de santé. Entreprise biopharmaceutique mondiale spécialisée dans la santé humaine, nous prévenons les maladies avec nos vaccins et proposons des traitements innovants. Nous accompagnons tant ceux qui sont atteints de maladies rares, que les millions de personnes souffrant d'une maladie chronique.

Sanofi et ses plus de 100 000 collaborateurs dans 100 pays transforment l'innovation scientifique en solutions de santé partout dans le monde.

Sanofi, Empowering Life, donner toute sa force à la vie.

Relations Médias

Sally Bain
Tél.: +1 (781) 264 1097
Sally.Bain@sanofi.com

Relations Investisseurs

Felix Lauscher
Tél.: +33 (0)1 53 77 45 45
ir@sanofi.com

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, le fait que les produits candidats s'ils sont approuvés pourraient ne pas rencontrer un succès commercial, l'approbation future et le succès commercial d'alternatives thérapeutiques, la capacité de Sanofi à saisir des opportunités de croissance externe et à finaliser les transactions y relatives, l'évolution des cours de change et des taux d'intérêt, l'instabilité des conditions économiques et de marché, des initiatives de maîtrise des coûts et leur évolution, l'impact que le COVID-19 aura sur Sanofi, ses clients, fournisseurs et partenaires et leur situation financière, ainsi que sur ses employés et sur l'économie mondiale. Tout impact significatif sur ces derniers pourrait négativement impacter Sanofi. La situation évolue rapidement et d'autres conséquences que nous ignorons pourraient apparaître et exacerber les risques précédemment identifiés. 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 2019 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 2019 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.