

Sanofi va présenter les résultats de phase III de l'avalglucosidase alpha chez des patients atteints de la forme tardive de la maladie de Pompe

- Session scientifique virtuelle le 16 juin 2020, 8 h 00 – 9 h 00 ET / 14 h 00 - 15 h 00 CET
- L'avalglucosidase alpha reçoit la désignation de thérapie révolutionnaire par la FDA

PARIS – Le 8 juin 2020 – Sanofi annonce la tenue d'une session scientifique virtuelle pour présenter les données de l'essai de phase III COMET consacré à l'avalglucosidase alpha, son enzymothérapie substitutive expérimentale pour le traitement de la forme tardive de la maladie de Pompe.

Réservée aux professionnels de santé et à la presse médicale, cette session comprendra une présentation des données de l'essai par le docteur Jordi Diaz-Manera, Ph.D., Professeur, Maladies neuromusculaires, Médecine translationnelle et Génétique au Centre John Walton de recherche sur les dystrophies musculaires de l'Université de Newcastle (Royaume-Uni) et à l'Unité des maladies neuromusculaires du Département de neurologie de l'Hôpital de la Santa Creu à Barcelone, en Espagne.

Cette présentation sera suivie d'une séance de questions-réponses animée par le docteur Alaa Hamed, MPH, MBA, Responsable Monde, Affaires Médicales, Maladies rares de Sanofi. Le docteur Kristina An Haack, Responsable de projet global, Maladie de Pompe, Développement clinique, Maladies rares de Sanofi sera également présente pour répondre aux questions sur le plan de l'essai clinique et le programme de développement clinique.

Approuvée par les auteurs de l'essai COMET, cette session scientifique est organisée en raison du report du Congrès international sur les maladies neuromusculaires (ICNMD) prévu juillet 2020 causé par la pandémie de COVID-19, au cours duquel les données de l'essai de phase III COMET devaient être présentées. La participation à la session scientifique du 16 juin 2020 nécessite une pré-inscription. Pour s'inscrire, prière de cliquer [ici](#).

La Food and Drug Administration (FDA) des Etats-Unis a accordé le statut de thérapie révolutionnaire à l'avalglucosidase alfa dans le traitement des patients atteints de la maladie de Pompe. La désignation de thérapie révolutionnaire permet d'accélérer le développement et l'examen de médicaments ciblant des affections graves ou potentiellement mortelles. Les médicaments répondant à cette désignation doivent présenter des preuves cliniques préliminaires d'une amélioration substantielle de leur

principal critère d'évaluation clinique par rapport aux thérapies disponibles ou à un placebo lorsqu'il n'y a pas de thérapie alternative.

À propos de la maladie de Pompe

La maladie de Pompe est causée par l'absence ou le fonctionnement anormal de l'enzyme lysosomale alpha-glucosidase acide (GAA), entraînant l'accumulation de glycogène dans les muscles, en particulier les muscles proximaux et ceux du diaphragme, et pouvant provoquer des dommages musculaires progressifs et irréversibles. Cette maladie rare affecte environ 50 000 personnes dans le monde selon les estimations et peut se manifester à tout âge, pendant l'enfance comme à l'âge adulte.

La maladie de Pompe est le plus souvent distinguée selon sa forme – tardive ou infantile. La forme tardive peut se manifester à tout moment entre l'âge d'un an à l'âge adulte. Ses principaux symptômes sont une atteinte respiratoire et des faiblesses musculaires qui entraînent des troubles de la mobilité. Les patients ont souvent besoin d'un fauteuil roulant pour se déplacer et d'une assistance respiratoire mécanique. L'insuffisance respiratoire est la cause la plus fréquente de décès chez les patients atteints de cette maladie. Lorsque les symptômes de la maladie de Pompe se manifestent avant l'âge d'un an, avec atteinte cardiaque et faiblesse des muscles du squelette, il s'agit de la forme dite infantile.

À propos de l'avalglucosidase alpha

Le but de l'enzymothérapie substitutive, dans la maladie de Pompe, est de pallier l'absence ou de compenser l'insuffisance de l'enzyme alpha-glucosidase acide (GAA) dans le lysosome des cellules musculaires, de manière à empêcher l'accumulation de glycogène dans les muscles. L'avalglucosidase alpha est une enzymothérapie substitutive pour la maladie de Pompe conçue pour remplacer l'enzyme alpha-glucosidase acide altérée dans les cellules des muscles, en particulier des muscles du squelette, par une enzyme de substitution. Avec environ 15 moles de mannose-6-phosphate (M6P) par mole de GAA, l'avalglucosidase alpha a pour but d'améliorer la capture de l'enzyme par les cellules et l'élimination du glycogène dans les tissus ciblesⁱ.

La FDA a accordé un examen accéléré à l'avalglucosidase alpha dans le traitement de la maladie de Pompe. Ni la FDA des États-Unis, ni aucun autre organisme de réglementation n'ont encore approuvé l'avalglucosidase alpha dans cette indication expérimentale.

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.

ⁱ Zhou Q. Bioconj Chem. 2011 Apr 20;22(4):741-51