

## La FDA accorde une procédure accélérée au rilzabrutinib pour le traitement de la thrombocytopénie immune

- \* Lancement d'un essai de phase III évaluant le rilzabrutinib, premier inhibiteur potentiel de la BTK (tyrosine kinase de Bruton) pour le traitement de la thrombocytopénie immune.
- \* Le rilzabrutinib a déjà obtenu le statut de médicament orphelin de la FDA.

**PARIS – Le 18 novembre 2020** – La Food and Drug Administration (FDA) des États-Unis a accordé une procédure accélérée (*Fast Track Designation*) au rilzabrutinib, un inhibiteur expérimental de la tyrosine kinase de Bruton (BTK) par voie orale, qui a le potentiel de devenir le premier inhibiteur de la BTK pour le traitement de la thrombocytopénie immune. Les résultats positifs d'une étude de phase I/II viennent en outre de motiver le lancement d'une étude de phase III dans le but d'évaluer le rilzabrutinib dans le traitement de la thrombocytopénie immune. La FDA a accordé le statut de médicament orphelin au rilzabrutinib en octobre 2018 pour le traitement de cette maladie.

*« En octroyant cette procédure accélérée au rilzabrutinib, un candidat expérimental pour le traitement de la thrombocytopénie immune, la FDA reconnaît à ce médicament le potentiel d'améliorer sensiblement les résultats cliniques des patients atteints de cette maladie invalidante. Il s'agit d'une reconnaissance importante, d'autant plus que nous venons de lancer un essai clinique de phase III. », a précisé Dolca Thomas, Chief Medical Officer de Principia, une entreprise Sanofi. « La procédure accélérée a pour but de faciliter le développement et d'accélérer l'examen de médicaments expérimentaux ayant le potentiel de répondre à des besoins médicaux insatisfaits et de traiter des maladies graves ou potentiellement mortelles »*

### À propos de la procédure accélérée

La procédure accélérée (*Fast Track Designation*) est un dispositif de la FDA qui permet de faciliter le développement et d'accélérer l'évaluation des médicaments destinés au traitement de maladies graves ou potentiellement mortelles et permettant de répondre à des besoins médicaux insatisfaits. La FDA a créé ce dispositif pour accélérer la mise à disposition de nouveaux médicaments importants aux patients. Il s'applique à un large éventail de maladies graves et peut conduire, sous réserve de certains critères, à une approbation accélérée (*Accelerated Approval*) et à un examen prioritaire (*Priority Review*).

## À propos de la thrombocytopénie immune

La thrombocytopénie immune est une affection auto-immune qui se caractérise par une diminution de la survie des plaquettes et une perturbation de la production plaquettaire entraînant une thrombocytopénie, une prédisposition aux saignements et une détérioration de la qualité de vie des patients. Chez les patients en rechute ou réfractaires aux corticoïdes, les médicaments permettant d'obtenir une rémission rapide et durable de la maladie font encore défaut.

## À propos du rilzabrutinib

Le rilzabrutinib inhibiteur covalent réversible de la tyrosine kinase de Bruton (BTK) par voie orale étudié pour le traitement de maladies d'origine immunitaire. La BTK intervient dans les réponses immunitaires innées et adaptatives, en plus d'être une molécule de signalisation dans les maladies immunitaires. Les données relatives au rilzabrutinib montrent que cette molécule a la capacité de bloquer les cellules immunitaires inflammatoires, d'éliminer la signalisation d'auto-anticorps destructeurs et d'empêcher la production de nouveaux auto-anticorps, sans épuiser les lymphocytes B. Le rilzabrutinib a le potentiel de cibler la pathogénèse sous-jacente de la maladie sans altération démontrée de l'agrégation plaquettaire. L'importance clinique de ces mécanismes fait actuellement l'objet d'études et aucune autorité réglementaire n'a encore évalué les profils de sécurité et d'efficacité de ce médicament.

**Note de la rédaction :** Le rilzabrutinib fait l'objet d'un essai de phase III dans le traitement du pemphigus vulgaire, une affection auto-immune responsable de l'apparition de cloques sur la peau et les muqueuses. Une étude de phase II a également été lancée dans le traitement d'une autre maladie auto-immune – la maladie à IgG4.

### 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 1091  
[sally.bain@sanofi.com](mailto:sally.bain@sanofi.com)

#### Relations Investisseurs - Paris

Eva Schaefer-Jansen  
Arnaud Delepine  
Yvonne Naughton

## Relations Investisseurs – Amérique du Nord

Felix Lauscher  
Fara Berkowitz  
Suzanne Greco

Tél.: +33 (0)1 53 77 45 45

[investor.relations@sanofi.com](mailto:investor.relations@sanofi.com)

<https://www.sanofi.com/en/investors/contact>

### **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 la 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.*