

L'étude pivot consacrée à l'efanesoctocog alpha a atteint son critère d'évaluation primaire et ses principaux critères secondaires dans le traitement de l'hémophilie A, illustrant sa supériorité sur une prophylaxie antérieure par facteur anti-hémophilique

- L'étude de phase III consacrée à l'efanesoctocog alpha une fois par semaine a atteint son critère d'évaluation primaire et permis de prévenir les épisodes hémorragiques (protection contre les saignements) de manière cliniquement significative.
- S'agissant du principal critère d'évaluation secondaire, l'efanesoctocog alpha s'est montré supérieur à une prophylaxie antérieure par facteur VIII en termes de prévention des saignements, avec une diminution cliniquement et statistiquement significative du taux de saignements annualisé.
- L'efanesoctocog alpha est un nouveau facteur VIII de remplacement expérimental conçu pour obtenir une activité du facteur pratiquement normale, à raison d'une seule dose prophylactique par semaine.

Paris et Stockholm – Le 9 mars 2022 - Sanofi et [Swedish Orphan Biovitrum AB \(publ\)](#) (Sobi®) (STO:SOBI) annoncent aujourd'hui les premiers résultats positifs de leur étude pivot XTEND-1 de phase III évaluant la sécurité, l'efficacité et la pharmacocinétique de l'efanesoctocog alpha (BIVV001) administré à des patients âgés de 12 ans et plus atteints d'hémophilie A sévère ayant déjà été traités.

L'étude a atteint son critère d'évaluation primaire et montré qu'un traitement prophylactique hebdomadaire par efanesoctocog alpha pendant 52 semaines permet de prévenir les saignements chez les patients présentant une hémophilie A sévère de manière cliniquement significative. Le taux de saignements annualisé (TSA) médian s'est établi à 0 et le TSA moyen à 0,71. Le principal critère d'évaluation secondaire a également été atteint et l'administration d'une dose hebdomadaire d'efanesoctocog alpha s'est révélée supérieure au traitement substitutif antérieur par facteur VIII, avec une diminution statistiquement significative du TSA, sur la base d'une comparaison entre patients. L'efanesoctocog alpha a été bien toléré et aucun inhibiteur anti-facteur VIII n'a été détecté chez les participants à l'étude. Les événements indésirables liés au traitement les plus fréquents (>5% des participants globalement) ont été les maux de tête, l'arthralgie, les chutes et les douleurs dorsales.

Dr Dietmar Berger, Ph.D.

Responsable Monde, Développement et Chief Medical Officer, Sanofi

« Bien que des progrès aient été accomplis dans le traitement de l'hémophilie, les besoins médicaux non pourvus subsistent. Ces premières données positives, qui montrent un taux de saignements annualisé très bas, prouvent que l'efanesoctocog alpha a le potentiel de transformer le traitement de l'hémophilie A. Nous pensons que l'efanesoctocog alpha confère une protection supérieure et plus durable contre les saignements, avec un allègement de la charge du traitement du fait de son administration hebdomadaire. Nous sommes impatients de collaborer avec les organismes de réglementation pour mettre ce traitement à la disposition des patients dans les meilleurs délais possibles. »

L'hémophilie A est un trouble hémorragique héréditaire rare qui se traduit par l'incapacité du sang à coaguler correctement en raison d'un déficit en facteur VIII. Un garçon sur 5 000 naissances de sexe masculin naît atteint d'hémophilie A chaque année. Cette maladie survient plus rarement chez les filles. Les personnes hémophiles peuvent présenter des épisodes de saignements causant des douleurs, des lésions articulaires irréversibles et des hémorragies pouvant engager le pronostic vital.

Dr Anders Ullman, Ph.D.

Responsable, R&D et Chief Medical Officer, Sobi

« Nous pensons que l'efanesoctocog alpha a le potentiel de représenter une nouvelle classe de facteur VIII de remplacement conçu pour maintenir durablement les concentrations de facteur VIII à des niveaux quasiment normaux pendant pratiquement toute la semaine. Nous sommes impatients de présenter les résultats de phase III et en particulier les données sur la santé physique, la douleur et la santé des articulations, dans le cadre de prochains congrès médicaux. »

Les données formeront la base des soumissions qui seront présentées aux organismes de réglementation partout dans le monde dès cette année. Dans l'Union européenne, cette soumission interviendra lorsque les données de l'étude en cours XTEND-Kids chez l'enfant seront disponibles. Celles-ci sont attendues en 2023. L'efanesoctocog alpha a obtenu la désignation de médicament orphelin de la Food and Drug Administration (FDA) des États-Unis en août 2017 et de la Commission européenne en juin 2019. La FDA lui a accordé un examen accéléré en février 2021. L'efanesoctocog alpha fait actuellement l'objet d'études cliniques et aucun organisme de réglementation n'a encore évalué ses profils de sécurité et d'efficacité.

À propos de l'étude XTEND-1 de phase III

L'étude XTEND-1 ([NCT04161495](#)) de phase III est une étude interventionnelle en ouvert, non randomisée, ayant pour but d'évaluer la sécurité, l'efficacité et la pharmacocinétique de l'efanesoctocog alpha chez des personnes de plus de 12 ans (n=159) atteintes d'hémophilie A sévère, ayant déjà reçu un traitement substitutif par facteur VIII. L'étude comporte deux groupes de traitement parallèles : un groupe de traitement prophylactique dans le cadre duquel les participants ont reçu une dose prophylactique hebdomadaire de 50 UI/kg de d'efanesoctocog alpha pendant 52 semaines (Groupe A) – certains d'entre eux ont été inclus après une période d'observation au cours de laquelle ils ont reçu un traitement prophylactique substitutif par facteur VIII déjà commercialisé – et un groupe de traitement épisodique (ou « à la demande »), dans le cadre duquel les participants ont reçu une dose de 50 IU/kg à la demande pendant 26 semaines, avant de passer à un traitement prophylactique hebdomadaire pendant 26 autres semaines (Groupe B).

Le critère d'évaluation primaire était le taux de saignements annualisé (TSA) dans le Groupe A et le principal critère d'évaluation secondaire, la comparaison entre patients du TSA pendant le traitement prophylactique hebdomadaire par efanesoctocog alpha, comparativement au TSA avec le traitement prophylactique antérieur, parmi les participants du Groupe A ayant pris part à l'étude observationnelle 242HA201/OBS16221.

À propos de l'efanesoctocog alpha (BIVV001)

L'efanesoctocog alpha est un nouveau facteur VIII recombinant expérimental conçu pour prolonger la protection contre les saignements à raison d'une dose prophylactique par semaine, pour les personnes atteintes d'hémophilie A. Il repose sur la technologie innovante de fusion avec un fragment Fc auquel un fragment du facteur von Willebrand et des séquences polypeptidiques XTEN® ont été ajoutés de manière à prolonger sa présence dans la circulation. Il s'agit du premier facteur VIII de remplacement expérimental ayant montré qu'il pouvait surmonter l'effet-plafond du facteur von Willebrand, qui limite la demi-vie des facteur VIII de remplacement actuellement disponibles. L'efanesoctocog alpha fait actuellement l'objet d'études cliniques et aucun organisme de réglementation n'a encore évalué ses profils de sécurité et d'efficacité.

À propos de la collaboration entre Sanofi et Sobi

La collaboration entre Sobi et Sanofi porte sur le développement et la commercialisation d'Alprolix® et d'Elocta®/Eloctate®, ainsi que sur le développement et la commercialisation de l'efanesoctocog alpha, un facteur VIII expérimental qui pourrait permettre d'obtenir une activité du facteur soutenue et pratiquement normale avec une seule dose prophylactique hebdomadaire pour les personnes atteintes d'hémophilie A. Sobi détient les droits sur le développement final et la commercialisation sur son territoire (principalement l'Europe, l'Afrique du Nord, la Russie et la plupart des pays du Moyen-Orient). Sanofi détient les droits sur le développement final et la commercialisation en Amérique du Nord et dans tous les autres pays ne faisant pas partie du territoire couvert par Sobi.

Sobi®

Sobi est une entreprise biopharmaceutique internationale spécialisée dans le développement de traitements qui transforment la vie des personnes atteintes de maladies rares. Sobi offre un accès durable à des médicaments innovants dans les domaines de l'hématologie, de l'immunologie et de la médecine de spécialités. L'entreprise emploie environ 1 600 collaborateurs en Europe, en Amérique du Nord, au Moyen-Orient et en Asie. En 2021, Sobi a généré un chiffre d'affaires de 15,5 milliards de couronnes suédoises. Son action (STO:SOBI) est cotée au Nasdaq de Stockholm. Plus d'informations disponibles sur sobi.com, LinkedIn et YouTube.

XTEN® est une marque déposée d'Amunix Pharmaceuticals, Inc.

À propos de Sanofi

Nous sommes une entreprise mondiale de santé, innovante et animée par une vocation : poursuivre les miracles de la science pour améliorer la vie des gens. Nos équipes, présentes dans une centaine de pays, s'emploient à transformer la pratique de la médecine pour rendre possible l'impossible. Nous apportons des solutions thérapeutiques qui peuvent changer la vie des patients et des vaccins qui protègent des millions de personnes dans le monde, guidés par l'ambition d'un développement durable et notre responsabilité sociétale.

Sanofi est cotée sur EURONEXT : SAN et NASDAQ : SNY.

Sanofi :

Relations médias

Sandrine Guendoul | + 33 6 25 09 14 25 | sandrine.quendoul@sanofi.com

Sally Bain | + 1 617 834 6026 | sally.bain@sanofi.com

Relations investisseurs

Eva Schaefer-Jansen | + 33 7 86 80 56 39 | eva.schaefer-jansen@sanofi.com

Arnaud Delépine | + 33 6 73 69 36 93 | arnaud.delepine@sanofi.com

Corentine Driancourt | + 33 6 40 56 92 21 | corentine.driancourt@sanofi.com

Felix Lauscher | + 1 908 612 7239 | felix.lauscher@sanofi.com

Priya Nanduri | +1 908 981 5560 | priya.nanduri@sanofi.com

Nathalie Pham | + 33 7 85 93 30 17 | nathalie.pham@sanofi.com

Sobi :

Pour les coordonnées de l'équipe Relations investisseurs de Sobi, [cliquer ici](#). Pour les coordonnées de l'équipe Relations médias de Sobi, [cliquer ici](#).

Thomas Kudsk Larsen | Responsable, Communications et Relations investisseurs

Paula Treutiger | Responsable Monde, Communications

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 2021 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 2021 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.