

# *L'étude XTEND-Kids de phase III, désormais clôturée, a démontré qu'ALTUVIIIIO™ a le potentiel de redéfinir les attentes relatives au traitement des enfants de moins de 12 ans atteints d'hémophilie A*

**Paris – Le 2 mars 2023** – L'étude pivot de phase III XTEND-Kids évaluant la sécurité, l'efficacité et le profil pharmacocinétique d'ALTUVIIIIO, à raison d'une dose prophylactique par semaine, chez des patients de moins de 12 ans atteints d'hémophilie A ayant déjà été traités, a atteint son critère d'évaluation primaire et aucun inhibiteur anti-facteur VIII n'a été détecté chez 74 enfants, dont plus de 50 ont été exposés au traitement pendant au moins 50 jours, soit pratiquement une année complète. La conclusion de l'étude XTEND-Kids représente la dernière étape nécessaire à la soumission d'une demande d'approbation réglementaire dans l'Union européenne.

### ***Dr Karin Knobe, Ph.D.***

Responsable, Aire thérapeutique, Maladies rares et Maladies hématologiques rares, Sanofi

*« Chez Sanofi, nous ne renonçons jamais. Nous travaillons avec les patients, les soignants et les associations de patients pour comprendre les besoins des hémophiles et développer des technologies de tout premier ordre pour répondre à leurs besoins. Nous aspirons à donner à chaque enfant atteint d'hémophilie la possibilité de jouer sans crainte, de voyager sans avoir à se soumettre à un traitement contraignant et de réaliser ses rêves l'esprit libre. »*

L'hémophilie A est une maladie rare qui dure toute la vie et se traduit par l'incapacité du sang à coaguler correctement, ce qui provoque des saignements excessifs et spontanés dans les articulations causant des lésions et douleurs chroniques et pouvant avoir d'importantes répercussions sur la qualité de vie. La gravité de l'hémophilie est fonction du niveau d'activité du facteur de coagulation dans le sang, avec une corrélation négative entre le risque de saignement et les niveaux d'activité du facteur.

ALUTVIIIIO est le premier facteur VIII de remplacement à durée d'action élevée et soutenue de sa classe pharmacothérapeutique. Il a été approuvé en février 2023 par la Food and Drug Administration (FDA) des États-Unis pour la prophylaxie de routine et le traitement ponctuel pour contrôler les épisodes hémorragiques, ainsi que pour la prise en charge périopératoire (chirurgicale), chez l'adulte et l'enfant atteints d'hémophilie A. Il est le premier facteur VIII de remplacement bénéficiant de la désignation de médicament innovant (*Breakthrough Therapy*) de la FDA, qu'il a obtenue en mai 2022. La FDA lui a également accordé une évaluation accélérée (*Fast Track*) en février 2021 et la désignation de médicament orphelin en 2017. La Commission européenne lui a accordé la désignation de médicament orphelin en juin 2019.

### ***À propos de l'étude XTEND-Kids***

L'étude XTEND-Kids (NCT04759131) était une étude interventionnelle en ouvert, non randomisée, de la sécurité, de l'efficacité et du profil pharmacocinétique d'une dose hebdomadaire d'ALTUVIIIIO administrée à des patients de moins de 12 ans ayant déjà été traités pour leur hémophilie A sévère. Les patients ont reçu un traitement prophylactique hebdomadaire par ALTUVIIIIO (50 UI/kg) pendant 52 semaines, ce qui d'obtenir des niveaux de facteur VIII élevés et soutenus pendant toute la semaine, avec un taux de saignements

annualisé (TSA) médian de 0,00 (0,00, 1,02) et un TSA moyen estimé (IC à 95 %) de 0,89 (0,56 ; 1,42). Le critère d'évaluation primaire était le développement d'inhibiteurs (entre l'inclusion et la semaine 52). Aucun inhibiteur n'a été détecté au cours de cette étude.

#### *À propos d'ALTUVIIIIO™*

ALTUVIIIIO [facteur antihémophilique (recombinant), protéine de fusion-ehtl Fc-VWF-XTEN] est le premier facteur VIII de remplacement de sa classe pharmaceutique. Il est conçu pour prolonger la protection contre les saignements à raison d'une dose prophylactique par semaine, chez l'adulte et l'enfant atteints d'hémophilie A. La demi-vie d'ALTUVIIIIO est trois à quatre fois plus longue que celle des facteurs VIII de remplacement standards ou à demi-vie prolongée et permet d'obtenir une activité du facteur élevée et soutenue (supérieure à 40 %) pendant pratiquement toute la semaine et une activité de 15 % à la fin de l'intervalle entre les doses. Il s'agit du premier facteur VIII de remplacement ayant montré qu'il pouvait surmonter l'effet-plafond du facteur von Willebrand, qui limite la demi-vie des facteurs VIII de remplacement ancienne génération. ALTUVIIIIO 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 sanguine. XTEN® est une marque déposée d'Amunix Pharmaceuticals, Inc.

#### *À propos des programmes cliniques XTEND*

Le programme clinique XTEND se compose de deux essais de phase III pour le traitement de l'hémophilie A : XTEND-1 mené chez des patients de plus de 12 ans et XTEND-Kids mené chez des enfants de moins de 12 ans. Une étude d'extension (XTEND-ed) est également en cours.

L'étude XTEND-1 de phase III (NCT04161495) était une étude interventionnelle en ouvert, non randomisée, qui avait pour but d'évaluer la sécurité, l'efficacité et le profil pharmacocinétique d'ALTUVIIIIO chez des personnes de plus de 12 ans (n=159) atteintes d'hémophilie A sévère, ayant déjà reçu un traitement par facteur VIII de remplacement. L'étude comportait deux groupes de traitement parallèles : un groupe de traitement prophylactique (groupe A, n=133) dans le cadre duquel les participants ayant déjà bénéficié d'une prophylaxie par facteur VIII ont commencé à recevoir une dose prophylactique hebdomadaire de 50 UI/kg d'ALTUVIIIIO pendant 52 semaines et un groupe de traitement épisodique ou « à la demande » (groupe B, n=26), dans le cadre duquel les participants ont reçu une dose d'ALTUVIIIIO de 50 UI/kg à la demande pendant 26 semaines, avant de passer à un traitement prophylactique hebdomadaire (50 UI/kg) pendant 26 autres semaines.

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 ALTUVIIIIO, comparativement au TSA avec le traitement prophylactique antérieur, dans un sous-ensemble de participants du Groupe A ayant pris part à l'étude observationnelle (étude 242HA201/OBS16221).

L'étude XTEND-Kids (NCT04759131) était une étude interventionnelle en ouvert, non randomisée, de la sécurité, de l'efficacité et du profil pharmacocinétique d'une dose hebdomadaire d'ALTUVIIIIO administrée à des enfants de moins de 12 ans présentant une hémophilie A sévère ayant déjà été traités. Les patients ont reçu une dose prophylactique hebdomadaire d'ALTUVIIIIO (50 UI/kg) pendant 52 semaines. Le critère d'évaluation primaire était le développement d'inhibiteurs.

#### *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®. Les deux entreprises collaborent également au développement et à la commercialisation de l'efanesoctocog alpha ou ALTUVIIIIO™ aux États-Unis. 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.

#### *À propos de Sobi®*

Sobi est une entreprise biopharmaceutique internationale spécialisée dans le développement de traitements qui transforment la vie des personnes atteintes de maladies rares et invalidantes. 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, en Asie et en Australie. En 2022, Sobi a généré un chiffre d'affaires de 18,8 milliards de couronnes suédoises. Son action (STO :SOBI) est cotée au Nasdaq de Stockholm. Plus d'informations disponibles sur [sobi.com](https://sobi.com), LinkedIn et YouTube.

### *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.

### *Relations médias*

**Sandrine Guendoul** | + 33 6 25 09 14 25 | [sandrine.quendoul@sanofi.com](mailto:sandrine.quendoul@sanofi.com)

**Sally Bain** | + 1 617 834 6026 | [sally.bain@sanofi.com](mailto:sally.bain@sanofi.com)

**Evan Berland** | +1 215 432 0234 | [evan.berland@sanofi.com](mailto:evan.berland@sanofi.com)

**Kate Conway** | + 1 508 364 4931 | [kate.conway@sanofi.com](mailto:kate.conway@sanofi.com)

**Victor Rouault** | + 33 6 70 93 71 40 | [victor.rouault@sanofi.com](mailto:victor.rouault@sanofi.com)

### *Relations investisseurs*

**Eva Schaefer-Jansen** | + 33 7 86 80 56 39 | [eva.schaefer-jansen@sanofi.com](mailto:eva.schaefer-jansen@sanofi.com)

**Arnaud Delépine** | + 33 6 73 69 36 93 | [arnaud.delepine@sanofi.com](mailto:arnaud.delepine@sanofi.com)

**Corentine Driancourt** | + 33 6 40 56 92 21 | [corentine.driancourt@sanofi.com](mailto:corentine.driancourt@sanofi.com)

**Felix Lauscher** | + 1 908 612 7239 | [felix.lauscher@sanofi.com](mailto:felix.lauscher@sanofi.com)

**Tarik Elgoutni** | + 1 617 710 3587 | [tarik.elgoutni@sanofi.com](mailto:tarik.elgoutni@sanofi.com)

**Nathalie Pham** | + 33 7 85 93 30 17 | [nathalie.pham@sanofi.com](mailto:nathalie.pham@sanofi.com)

### *Contacts Sobi :*

#### *Relations médias*

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

#### *Relations investisseurs*

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

### **Sanofi Forward-Looking Statements**

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. 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 2022 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 2022 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.

