

### *Le rilzabrutinib de Sanofi a été désigné comme thérapie innovante aux États-Unis et comme médicament orphelin au Japon pour le traitement de l'anémie hémolytique auto-immune à anticorps chauds*

- Le rilzabrutinib est le premier et le seul BTKi expérimental pour l'anémie hémolytique auto-immune à anticorps chauds à être désigné comme thérapie innovante par la FDA.
- Le rilzabrutinib aide à lutter contre le dérèglement complexe du système immunitaire grâce à la modulation multi-immunitaire.
- Le rilzabrutinib détient des désignations réglementaires mondiales pour plusieurs maladies rares, ce qui souligne son large potentiel thérapeutique.

**Paris, 9 février 2026.** L'Agence américaine des produits alimentaires et médicamenteux (US Food and Drug Administration, FDA) a accordé une désignation de traitement révolutionnaire à Wayrilz (rilzabrutinib), un nouvel inhibiteur oral et réversible de la tyrosine kinase de Bruton (BTK), pour le traitement des patients atteints d'anémie hémolytique auto-immune à anticorps chauds (AHAIC), une maladie auto-immune rare caractérisée par la destruction des globules rouges. Le ministère japonais de la Santé, du Travail et du Bien-être a également attribué au rilzabrutinib une désignation orpheline pour la même affection.

Les deux désignations sont basées sur les données cliniques de l'étude de phase 2b LUMINA 2 en cours (identifiant de l'étude clinique : [NCT05002777](#)) qui évalue l'efficacité et la sécurité d'emploi du rilzabrutinib chez les patients atteints d'AHAIC. En outre, la nouvelle étude de phase 3 LUMINA 3 (identifiant de l'étude clinique : [NCT07086976](#)), évalue le rilzabrutinib par rapport au placebo chez les patients atteints d'AHAIC. Il n'existe actuellement aucun traitement approuvé qui cible spécifiquement la cause sous-jacente de cette maladie auto-immune rare, qui peut entraîner une anémie, de la fatigue et des graves lésions organiques.

Une désignation de thérapie innovante de la FDA vise à accélérer le développement et l'examen aux États-Unis des médicaments destinés à traiter des affections graves ou potentiellement mortelles et pour lesquels des données cliniques préliminaires indiquent que la thérapie pourrait apporter une amélioration substantielle par rapport aux options de traitement disponibles. La désignation orpheline au Japon est accordée aux médicaments qui traitent des maladies ou affections médicales rares ayant des besoins médicaux importants non satisfaits.

*« Ces reconnaissances soulignent le besoin critique non satisfait qui persiste pour les personnes vivant avec l'AHAIC », a déclaré **Karin Knobe**, Responsable Monde du Développement clinique pour les Maladies Rares. « En outre, l'obtention de ces désignations renforce notre engagement à faire progresser les médicaments innovants pour les maladies rares qui n'ont actuellement que peu ou pas d'options de traitement approuvées. »*

Le rilzabrutinib est approuvé aux États-Unis, dans l'UE et aux Émirats arabes unis (É.A.U.) sous la marque Wayrilz pour le traitement des adultes atteints de thrombocytopénie immunitaire (TPI) et est actuellement en cours d'examen réglementaire pour la TPI au Japon. En dehors des indications de TPI approuvées aux États-Unis, dans l'UE et aux Émirats arabes unis, ces utilisations du rilzabrutinib sont expérimentales et n'ont été évaluées par aucune autorité réglementaire.

La FDA a précédemment accordé la désignation de médicament orphelin au rilzabrutinib pour l'anémie hémolytique auto-immune, ainsi que deux autres maladies rares, la maladie associée aux IgG4 (IgG4-RD) et la drépanocytose (SCD). Le rilzabrutinib a également obtenu une procédure d'évaluation accélérée de la FDA pour la TPI et IgG4-RD et la désignation orpheline de l'UE dans pour la PTI, l'anémie hémolytique auto-immune et la IgG4-RD.

#### *À propos de l'AHAIc*

L'AHAIc est une maladie auto-immune rare, potentiellement mortelle, due à un dérèglement complexe du système immunitaire. Elle représente plus de la moitié des cas d'anémie hémolytique auto-immune. Dans l'AHAIc, les auto-anticorps entraînent la destruction prématurée des globules rouges de l'organisme (hémolyse), parfois plus rapidement que la moelle osseuse ne peut les remplacer. Aux États-Unis et dans l'UE, on estime que l'anémie hémolytique auto-immune touche 4 à 24 personnes sur 100 000, tandis qu'elle est plus rare au Japon, avec 3 à 10 personnes affectées sur un million. Les personnes atteintes d'AHAIc peuvent souffrir de fatigue intense, de vertiges, de palpitations et d'essoufflement, et être exposées à des complications telles que des thromboembolies.

#### *À propos du rilzabrutinib*

Le rilzabrutinib (Wayrilz là où il est approuvé) est un nouvel inhibiteur covalent réversible de la BTK, administré par voie orale, qui pourrait constituer un nouveau médicament efficace pour plusieurs maladies rares à médiation immunitaire ou inflammatoires, en agissant pour rétablir l'équilibre immunitaire via une modulation multi-immunitaire. La BTK, exprimée dans les cellules B, les macrophages et d'autres cellules immunitaires innées, joue un rôle essentiel dans les différents processus pathologiques à médiation immunitaire et les voies inflammatoires. Grâce à l'application de la technologie TAILORED COVALENCY®, le rilzabrutinib peut inhiber la cible BTK de façon sélective. Wayrilz est maintenant approuvé pour le traitement de la thrombocytopénie immunitaire (TPI) aux États-Unis, dans l'UE et aux Émirats arabes unis. L'examen réglementaire pour le traitement de la TPI est actuellement en cours au Japon.

Outre l'ITP et le wAIHA, le rilzabrutinib fait actuellement l'objet d'études dans le cadre de diverses maladies rares, notamment l'IgG4-RD et la SCD. Ces indications supplémentaires sont actuellement à l'étude et n'ont pas été approuvées par les autorités réglementaires.

#### *À propos de Sanofi*

Sanofi est une entreprise biopharmaceutique qui innove en R&D et exploite l'IA à grande échelle pour améliorer la vie des gens et réaliser une croissance à long terme. Grâce à notre compréhension approfondie du système immunitaire, nous concevons des médicaments et des vaccins qui traitent et protègent des millions de personnes dans le monde et développons un portefeuille d'innovations thérapeutiques qui pourrait bénéficier à des millions d'autres. Animées par une mission commune consistant à poursuivre les miracles de la science pour améliorer la vie des gens, nos équipes œuvrent chaque jour à faire progresser la recherche, avoir un impact positif sur nos collaborateurs et les communautés que nous servons, et répondre aux grands défis de santé, d'environnement et de société de notre époque.

Sanofi est cotée sur EURONEXT : SAN et NASDAQ : SNY

#### *Relations presse*

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

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

**Timothy Gilbert** | +1 516 521 2929 | [timothy.gilbert@sanofi.com](mailto:timothy.gilbert@sanofi.com)

**Léo Le Bourhis** | +33 6 75 06 43 81 | [leo.lebourhis@sanofi.com](mailto:leo.lebourhis@sanofi.com)

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

**Léa Ubaldi** | +33 6 30 19 66 46 | [lea.ubaldi@sanofi.com](mailto:lea.ubaldi@sanofi.com)

**Ekaterina Pesheva** | +1 410 926 6780 | [ekaterina.pesheva@sanofi.com](mailto:ekaterina.pesheva@sanofi.com)

#### *Relations avec les investisseurs*

**Thomas Kudsk Larsen** | + 44 7545 513 693 | [thomas.larsen@sanofi.com](mailto:thomas.larsen@sanofi.com)

**Alizé Kaisserian** | + 33 6 47 04 12 11 | [alize.kaisserian@sanofi.com](mailto:alize.kaisserian@sanofi.com)

**Keita Browne** | + 1 781 249 1766 | [keita.browne@sanofi.com](mailto:keita.browne@sanofi.com)

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

**Nina Goworek** | +1 908 569 7086 | [nina.goworek@sanofi.com](mailto:nina.goworek@sanofi.com)

**Thibaud Châtelet** | + 33 6 80 80 89 90 | [thibaud.chatelet@sanofi.com](mailto:thibaud.chatelet@sanofi.com)

**Yun Li** | +33 6 84 00 90 72 | [yun.li3@sanofi.com](mailto:yun.li3@sanofi.com)

---

## Déclarations prospectives – Sanofi

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 qu'une crise mondiale pourrait avoir 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 2024 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 2024 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.