

ATS : Les données de phase 2 démontrent la supériorité de l'efdoralprin alfa par rapport au traitement de substitution standard pour atteindre des taux de fAAT plus élevés dans le DAAT

- Les données de l'étude comparative montrent que l'efdoralprin alfa a normalisé et maintenu les taux d'AAT fonctionnelle chez les personnes vivant avec un déficit en alpha-1 antitrypsine
- L'efdoralprin alfa est une protéine recombinante distincte des traitements dérivés du plasma, qui constituent la norme de soins depuis près de 40 ans

Paris, le 18 mai 2026. Les données de l'étude internationale de phase 2 ElevAATe (identifiant de l'étude clinique : [NCT05856331](#)) ont démontré la supériorité de l'efdoralprin alfa expérimental par rapport au traitement standard d'augmentation pour atteindre et maintenir des taux normalisés d'alpha-1 antitrypsine fonctionnelle (fAAT) chez des patients adultes atteints d'emphysème lié au déficit en alpha-1 antitrypsine (DAAT). Ces résultats sont présentés aujourd'hui lors de la Conférence internationale de l'American Thoracic Society (ATS) 2026 à Orlando, en Floride.

L'efdoralprin alfa, administré toutes les trois semaines (Q3W), a atteint des augmentations moyennes des concentrations résiduelles de fAAT plus de trois fois supérieures à celles des protéines dérivées du plasma (pdAAT) administrées chaque semaine (Q1W), atteignant l'objectif principal ($p < 0,0001$). Tous les critères d'évaluation secondaires clés de l'étude ont également été atteints ($p < 0,0001$), soulignant le potentiel de l'efdoralprin alfa comme premier traitement capable de maintenir des taux normaux de fAAT chez les patients, avec une fréquence d'administration réduite. Chez les patients traités en Q3W, les taux de fAAT sont restés supérieurs au seuil normal ($23,8 \mu\text{M}$) pendant 100 % des jours de l'étude de 32 semaines, contre 41 % des jours chez les patients sous traitement standard d'augmentation.

La DAAT est une affection génétique rare sous-diagnostiquée qui peut entraîner des atteintes respiratoires importantes et se caractérise par de faibles taux ou l'absence d'AAT, une protéine jouant un rôle protecteur contre l'inflammation pulmonaire. Sans taux adéquats de fAAT, les patients présentent souvent une détérioration progressive du tissu pulmonaire et peuvent développer un emphysème, la forme la plus fréquente de bronchopneumopathie chronique obstructive (BPCO), représentant jusqu'à 72 % des décès chez les personnes atteintes de DAAT. On estime que 90 % des personnes atteintes de DAAT ne sont pas diagnostiquées.

*« La DAAT constitue un défi clinique persistant. Le manque de sensibilisation à cette maladie en tant que cause génétique de certaines formes de BPCO laisse de nombreux patients insuffisamment pris en charge. Sans traitement visant à corriger le déficit sous-jacent en protéine AAT, ces patients ne peuvent pas maintenir des niveaux protecteurs et deviennent vulnérables à une progression de la maladie pulmonaire », a déclaré **Igor Barjaktarevic**, MD, PhD, professeur agrégé à la David Geffen School of Medicine de l'UCLA, Los Angeles, Californie, États-Unis, et investigateur principal de l'étude de phase 2 ElevAATe. « Les données d'ElevAATe suggèrent que l'efdoralprin alfa, par son mécanisme d'action, pourrait permettre de restaurer des taux normaux d'AAT et de les maintenir plus longtemps qu'un traitement standard, contribuant ainsi à répondre à un besoin médical non satisfait grâce à une approche recombinante de restauration. »*

L'étude de phase 2 ElevAATe

L'étude de phase 2 ElevAATe était une étude randomisée en double aveugle évaluant l'efdoralprin alfa par rapport à un traitement standard d'augmentation chez des patients atteints d'emphysème lié au DAAT. Quarante-deux patients ont été randomisés selon un ratio 2:2:1 pour recevoir l'efdoralprin alfa toutes les trois ou quatre semaines, ou un traitement standard d'augmentation dérivé du plasma une fois par semaine.

Les résultats suivants sont présentés aujourd'hui :

	Efdoralprin alfa Q3W	Efdoralprin alfa Q4W	Traitement d'augmentation dérivé du plasma Q1W
Objectif principal			
Variation moyenne des concentrations sériques résiduelles de fAAT entre la ligne de base et l'état d'équilibre à la semaine 32*	24,1 µM [22,8 µM, 25,3 µM] p < 0,0001	16,8 µM [15,5 µM, 18,1 µM] p < 0,0001	7,6 µM [6,0 µM, 9,3 µM]
Critères d'évaluation secondaires clés			
Variation moyenne des concentrations sériques moyennes de fAAT entre la ligne de base et l'état d'équilibre à la semaine 32*	32,9 µM [31,7 µM, 34,2 µM] p < 0,0001	26,0 µM [24,6 µM, 27,3 µM] p < 0,0001	17,9 µM [16,2 µM, 19,6 µM]
Pourcentage de jours pendant lesquels les taux de fAAT à l'état d'équilibre étaient supérieurs à la limite inférieure de la plage normale à la semaine 32**	100 % p < 0,0001	89,3 % p < 0,0001	40,8 %

* Variation moyenne des moindres carrés ; [intervalle de confiance à 95 %].

** Plage normale pour l'AAT fonctionnel = 23,8-42,4 µM.

Q4W : toutes les quatre semaines.

L'efdoralprin alfa a été bien toléré, avec un profil de sécurité comparable au pdAAT, aucun participant n'ayant présenté d'événements indésirables liés au traitement (EIAT) entraînant l'arrêt définitif du traitement de l'étude. Les EIAT les plus fréquents dans les groupes de traitement efdoralprin alfa Q3W, efdoralprin alfa Q4W et pdAAT étaient les exacerbations de la BPCO (34,1 %, 42,1 % et 44,4 %, respectivement), les céphalées (19,5 %, 13,2 % et 11,1 %, respectivement) et l'infection par la COVID-19 (17,1 %, 2,6 % et 16,7 %, respectivement). Notamment, l'incidence des exacerbations de BPCO de grade ≥ 2 , qui ont été saisies comme un événement indésirable d'intérêt particulier dans l'étude ElevAATe, était numériquement plus faible pour le bras efdoralprin alfa Q3W (26,8 %) que pour les bras efdoralprin alfa Q4W (42,1 %) et pdAAT (44,4 %). Des anticorps anti-médicament efdoralprin alfa ont été détectés chez deux participants et étaient transitoires et non neutralisants.

« Les données démontrent que l'efdoralprin alfa, un traitement recombinant visant à restaurer les niveaux physiologiques, conçu pour atteindre une demi-vie plus longue que le traitement standard d'augmentation, a le potentiel d'augmenter et de maintenir les

*taux de fAAT dans la plage normale avec une fréquence d'administration réduite. Cela pourrait représenter une avancée importante dans le traitement de l'emphysème lié au DAAT, offrant aux patients un nouvel espoir dans un état pathologique où l'innovation a été limitée au cours des 40 dernières années », a déclaré **Christopher Corsico**, directeur mondial du développement chez Sanofi.*

Sanofi échange avec les autorités réglementaires mondiales sur les prochaines étapes pour l'efdoralprin alfa. L'efdoralprin alfa a obtenu la désignation Fast Track ainsi que la désignation de médicament orphelin aux États-Unis, et la désignation de médicament orphelin dans l'Union européenne. Des résultats supplémentaires à long terme de sécurité d'emploi et d'efficacité sont évalués dans l'étude d'extension en ouvert ElevAATe de phase 2 (identifiant de l'étude clinique : [NCT05897424](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT05897424)).

L'efdoralprin alfa est en cours de développement clinique ; sa sécurité et son efficacité n'ont été évaluées par aucune autorité réglementaire.

À propos de l'efdoralprin alfa

L'efdoralprin alfa est une protéine de fusion recombinante humaine AAT-Fc étudiée comme traitement visant à restaurer les taux d'AAT chez les adultes atteints d'emphysème lié au DAAT, avec une administration toutes les trois ou quatre semaines. Ce traitement expérimental, conçu pour obtenir une demi-vie plus longue que le traitement d'augmentation dérivé du plasma, est étudié afin de restaurer et maintenir les taux de fAAT dans la plage normale et d'inhiber l'élastase des neutrophiles ainsi que d'autres protéases pouvant endommager le tissu pulmonaire chez les patients atteints de DAAT.

À propos du DAAT

Le DAAT est un trouble héréditaire rare caractérisé par de faibles taux ou l'absence d'AAT, une protéine produite par le foie qui protège les poumons contre l'inflammation et les dommages. La maladie provoque une détérioration progressive des tissus pulmonaires et hépatiques. En l'absence de taux adéquats d'AAT, les personnes touchées présentent souvent des lésions pulmonaires et développent une BPCO, comprenant l'emphysème, et dans les formes sévères de la maladie, les patients peuvent parfois nécessiter une transplantation pulmonaire. Des traitements dérivés du plasma ont été introduits en 1987 pour traiter la maladie, mais depuis, aucune nouvelle approche thérapeutique n'est devenue disponible pour les patients. Environ 235 000 personnes dans le monde vivent avec un DAAT, dont près de 100 000 aux États-Unis, mais environ 90 % des personnes atteintes de DAAT ne sont probablement pas diagnostiquées.

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

Evan Berland | +1 215 432 0234 | evan.berland@sanofi.com

Léo Le Bourhis | +33 6 75 06 43 81 | leo.lebourhis@sanofi.com

Victor Rouault | +1 617 356 4751 | victor.rouault@sanofi.com

Timothy Gilbert | +1 516 521 2929 | timothy.gilbert@sanofi.com

Léa Ubaldi | +33 6 30 19 66 46 | lea.ubaldi@sanofi.com

Ekaterina Pesheva | +1 410 926 6780 | ekaterina.pesheva@sanofi.com

Relations avec les investisseurs

Thomas Kudsk Larsen | + 44 7545 513 693 | thomas.larsen@sanofi.com

Alizé Kaisserian | + 33 6 47 04 12 11 | alize.kaisserian@sanofi.com

Keita Browne | + 1 781 249 1766 | keita.browne@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. Les termes tels que « s'attendre à », « anticiper », « croire », « avoir l'intention de », « estimer », « planifier », « pouvoir », « envisager », « pourrait », « est conçu pour », « peut », « pourrait », « potentiel », « objectif », « tentative », « cible », « projeter », « stratégie », « s'efforcer », « souhaiter », « prédire », « prévoir », « ambition », « ligne directrice », « chercher à », « devrait », « sera », « but », ou leur forme négative, ainsi que d'autres termes similaires sont destinés à identifier des déclarations prospectives. 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 Food and Drug Administration américaine ou l'Agence européenne des médicaments, 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 ; les actions et contretemps réglementaires inattendus ou les réglementations étatiques en général ; les décisions des autorités concernant l'approbation ou non d'un produit candidat et le calendrier de cette approbation ; les pressions politiques aux États-Unis visant à imposer des prix plus bas pour les médicaments, notamment par la clause dite de la « nation la plus favorisée » pour les médicaments couverts par Medicare ; 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 ou obtenir les autorisations réglementaires y relatives, dont celles portant sur les données cliniques futures et l'analyse des données cliniques existantes relatives au produit, notamment les données post-commercialisation ; les problèmes imprévus de sécurité, de qualité ou de fabrication, la concurrence en général ; les risques associés à la propriété intellectuelle à tout litige en cours futur en la matière et à l'issue de ces litiges ; l'évolution des taux 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'Autorité des marchés financiers (AMF) et de la Securities and Exchange Commission (SEC) aux États-Unis, y compris ceux énumérés dans les rubriques « Facteurs de risque » et « Déclarations prospectives » du Document d'enregistrement universel 2025 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 2025 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. Au regard de ces risques, incertitudes et estimations, il convient de ne pas accorder une confiance excessive aux déclarations prospectives.

Toutes les marques citées dans le présent communiqué de presse sont la propriété du groupe Sanofi.