Communiqué de presse

Infilbray, de Sanofi, approuvé aux États-Unis comme le premier médicament indiqué dans le traitement des manifestations neurologiques de la maladie de Gaucher de type 3

- L'Infilbray est un médicament administré par voie orale une fois par jour, qui traverse la barrière hémato-encéphalique et cible les manifestations neurologiques invalidantes associées à la maladie de Gaucher de type 3 (MG3)
- La MG3 est une forme chronique neuronopathique de la maladie, caractérisée par une atteinte du système nerveux central (SNC), touchant des patients dans le monde entier

Paris, le 18 novembre 2026. L'agence américaine des produits alimentaires et médicamenteux (US Food and Drug Administration, FDA) a approuvé l'Infilbray (venglustat), un nouvel inhibiteur oral de la glucosylcéramide synthase (GCSi) qui agit en traversant la barrière hémato-encéphalique, pour le traitement des manifestations neurologiques de la maladie de Gaucher de type 3 (MG3) chez les adultes et les patients pédiatriques pesant au moins 15 kg. La MG3 est une maladie rare de surcharge lysosomale qui entraîne une détérioration progressive des fonctions systémiques et neurologiques, avec des manifestations touchant le système nerveux central (SNC).

Cette approbation repose sur les résultats positifs de l'étude de phase 3 LEAP2MONO (identifiant de l'étude clinique : NCT05222906), dans laquelle l'Infilbray a démontré une amélioration des manifestations neurologiques par rapport à l'imiglucérase, un traitement enzymatique substitutif (TES). L'analyse globale de plusieurs critères d'évaluation neurologiques a mis en évidence une supériorité statistiquement significative du venglustat (p = 0,0137).

> *« Les patients atteints de la maladie de Gaucher de type 3 doivent souvent suivre un parcours long et difficile avant d'obtenir un diagnostic précis. Il n'est pas rare qu'ils passent plusieurs années sans réponse, tandis que les manifestations neurologiques de la maladie continuent de progresser »*, a déclaré **Aviva Rosenberg**, JD, directrice générale et cofondatrice de la Gaucher Community Alliance. *« L'approbation* de l'Infilbray *aujourd'hui marque une avancée attendue depuis longtemps pour les personnes atteintes de la maladie de Gaucher de type 3 et souffrant de symptômes neurologiques invalidants. »*

L'étude de phase 3 LEAP2MONO a évalué l'efficacité et la sécurité d'emploi de l'Infilbray chez des adultes et des patients pédiatriques âgés de 12 ans et plus présentant des manifestations neurologiques de la MG3, dont les manifestations systémiques avaient été préalablement stabilisées grâce à un TES. Les résultats ont montré que les patients traités par l'Infilbray présentaient des améliorations statistiquement significatives de certaines manifestations neurologiques responsables de déficits cognitifs et de troubles de la coordination et de l'équilibre. Ces améliorations ont été évaluées à l'aide de plusieurs critères d'évaluation, comprenant la variation entre l'inclusion et la semaine 52 du score de l'Échelle modifiée d'évaluation et de notation de l'ataxie (Scale for Assessment and Rating of Ataxia, SARA) (score SARA à 4 items), ainsi que la variation entre l'inclusion et la semaine 52 du score total de l'indice de la Batterie d'évaluation neuropsychologique reproductible (Repeatable Battery for the Assessment of Neuropsychological Status, RBANS).

> *« Depuis des décennies, Sanofi met à la disposition des personnes atteintes de maladies rares des médicaments innovants. L'approbation aujourd'hui, aux États-Unis, de l'*Infilbray *pour les patients atteints de la maladie de Gaucher de type 3 vient enrichir*

de manière importante notre portefeuille étendu de médicaments », a déclaré **Manuela Buxo**, vice-présidente exécutive et responsable mondiale de la médecine de spécialités chez Sanofi. *« Avec* l'Infilbray*, nous franchissons une étape majeure dans la prise en charge de la maladie de Gaucher de type 3, en ciblant ses manifestations neurologiques. Cette avancée témoigne de notre engagement profond en faveur de l'innovation au service des patients et est rendue possible grâce à la mobilisation de notre équipe, qui œuvrent sans relâche pour répondre à leurs besoins médicaux non satisfaits. »*

« Nous avons été en mesure de traiter les manifestations systémiques de la maladie de Gaucher de type 3, tandis que les manifestations neurologiques sont restées hors de portée des traitements disponibles », a déclaré le ***Dr Pramod Mistry****, directeur du centre de maladie lysosomale de Yale et du centre de traitement de la maladie de Gaucher. « La mise à disposition d'un médicament capable de prendre en charge les manifestations neurologiques de cette maladie dévastatrice représente une avancée majeure pour les patients, leurs familles et l'ensemble de la communauté internationale concernée par la maladie de Gaucher de type 3. »*

L'Infilbray comporte des mises en garde et des précautions d'emploi concernant les idées et comportements suicidaires, l'opacification du cristallin chez les patients pédiatriques, ainsi que la toxicité embryofœtale. Les effets indésirables rapportés pendant la période d'analyse principale de l'étude LEAP2MONO chez les patients traités par l'Infilbray (n = 21) par rapport à l'imiglucérase (n = 22) étaient les suivants : diarrhée (14 % contre 0 %), splénomégalie (14 % contre 0 %), nausées (14 % contre 5 %), dépression (10 % contre 0 %), gastro-entérite (10 % contre 0 %) et vomissements (10 % contre 5 %).

L'Infilbray a précédemment bénéficié du statut de traitement innovant, du statut de médicament destiné au traitement d'une maladie pédiatrique rare et du statut de procédure accélérée aux États-Unis, ainsi que du statut de médicament orphelin pour le traitement de la MG3 dans l'Union européenne, aux États-Unis et au Japon. La demande d'autorisation de l'Infilbray a bénéficié d'un examen prioritaire aux États-Unis. Le médicament fait actuellement l'objet d'une évaluation réglementaire pour le traitement de la MG3 dans l'Union européenne, au Japon et dans d'autres juridictions. Sanofi prévoit de déposer d'autres demandes d'autorisation réglementaire pour l'Infilbray dans le traitement de la MG3 à l'échelle mondiale en 2026 et 2027.

À propos de LEAP2MONO

L'étude de phase 3 LEAP2MONO était une étude en double aveugle, à double placebo, avec comparateur actif, à deux bras, qui a évalué l'efficacité et la sécurité d'emploi de l'Infilbray oral une fois par jour par rapport au TES intraveineux (imiglucérase) toutes les deux semaines chez des adultes et des enfants âgés de 12 ans et plus atteints de la MG3. Les patients devaient avoir été traités par TES depuis au moins trois ans et avoir atteint des objectifs thérapeutiques pour les manifestations systémiques de la maladie. Quarante-trois patients ont été randomisés [1 pour 1] afin de recevoir l'Infilbray et une perfusion de placebo ou un TES et un comprimé de placebo. Le critère d'évaluation principal reposait sur un test global portant sur plusieurs critères d'évaluation (test pré-spécifié des moindres carrés ordinaires d'O'Brien). Il prenait en compte les variations entre l'inclusion et la semaine 52 des scores mSARA (fonction motrice) et RBANS (fonction cognitive). Les principaux critères d'évaluation systémiques comprenaient le volume de la rate, le volume du foie, le taux d'hémoglobine et la numération plaquettaire. Les principaux critères d'évaluation secondaires portant sur les biomarqueurs comprenaient la variation en pourcentage des taux de GL1 et de lyso-GL1 dans le liquide céphalorachidien et le plasma, entre l'inclusion et la semaine 52. La phase en ouvert de l'étude LEAP2MONO est en cours et ses résultats seront présentés à l'avenir lorsqu'ils seront disponibles.

À propos de la maladie de Gaucher

La maladie de Gaucher (MG) est une maladie de surcharge lysosomale héréditaire rare qui résulte d'un déficit en une enzyme appelée glucocérébrosidase (ou βglucosidase acide) qui entraîne l'accumulation de molécules appelées glycosphingolipides (GSL), en particulier dans les macrophages de la rate, du foie, de la moelle osseuse et des poumons. Le spectre clinique de la maladie de Gaucher comprend trois formes principales : la MG1, qui se caractérise par l'absence

d'atteinte primaire du système nerveux central (SNC), la MG2, qui est la forme neuronopathique aiguë, et la MG3, qui est la forme neuronopathique chronique. Chez les personnes atteintes de la MG3, l'accumulation de GSL dans le système nerveux central entraîne une neuro-inflammation, susceptible de provoquer des manifestations neurologiques, notamment des déficits cognitifs et des troubles de la coordination et de l'équilibre (ataxie). À ces manifestations s'ajoutent des atteintes systémiques telles qu'une augmentation du volume du foie et de la rate (hépatosplénomégalie), une anémie, une thrombocytopénie et une atteinte osseuse.

À propos d'Infilbray

L'Infilbray est un nouvel inhibiteur oral de la GCS, conçu pour traverser la barrière hémato-encéphalique, qui pourrait ralentir la progression de la MG3 en inhibant l'accumulation anormale de glycosphingolipides (GSL) et les conséquences physiopathologiques qui en découlent. Les GSL sont des éléments constitutifs cellulaires dont l'accumulation anormale est impliquée dans la MG3, entraînant à la fois un dysfonctionnement cellulaire et la progression de la maladie.

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. Nous appliquons notre connaissance approfondie du système immunitaire pour inventer des médicaments et des vaccins qui traitent et protègent des millions de personnes dans le monde entier, avec un pipeline innovant qui pourrait bénéficier à des millions d'autres. Notre équipe est guidée par un seul objectif : nous poursuivons les miracles de la science pour améliorer la vie des gens ; cela nous inspire pour stimuler le progrès et avoir un impact positif pour nos collaborateurs et les communautés que nous servons, en nous attaquant aux défis les plus urgents de notre époque en matière sanitaire, environnementale, et sociétale. 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
Laura Romby | +33 6 74 16 74 29 | laura.romby@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
Nathalie Pham | +33 7 85 93 30 17 | nathalie.pham@sanofi.com
Nina Goworek | +1 908 569 7086 | nina.goworek@sanofi.com
Thibaud Châtelet | +33 6 80 80 89 90 | thibaud.chatelet@sanofi.com
Yun Li | +33 6 84 00 90 72 | 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 concernant la mise sur le marché et autre potentiel de ce produit, ou concernant les développements et les recettes futures envisagées pour ce produit. 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, incertitudes et hypothèses comprennent notamment les actions et contretemps réglementaires inattendus, ou généralement des réglementations étatiques, qui peuvent affecter la disponibilité ou le potentiel commercial de ce produit, le fait que ce produit pourrait ne pas rencontrer un succès commercial ; 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 ; les incertitudes inhérentes à la recherche et développement, les futures données cliniques et l'analyse des données cliniques existantes relatives à ce produit, y compris postérieures à la mise sur le marché, les problèmes inattendus de sécurité, de qualité ou de production ; la concurrence de manière générale ; les risques associés à la propriété intellectuelle, à tout litige en cours ou futur en la matière et à l'issue de ces litiges, l'instabilité des conditions économiques et de marché, 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 Etats-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.