

La FDA accorde un examen prioritaire au sutimlimab, premier et seul traitement potentiel de l'hémolyse chez l'adulte atteint de la maladie des agglutinines froides

- * Le sutimlimab cible l'hémolyse déclenchée par l'activation du C1 dans la maladie des agglutinines froides (MAF)

PARIS – Le 14 mai 2020 - La Food and Drug Administration (FDA) des États-Unis [a accordé un examen prioritaire à la demande de licence de produit biologique (*Biologics License Application*, BLA) de Sanofi relative au sutimlimab pour le traitement de l'hémolyse chez l'adulte atteint de la maladie des agglutinines froides (MAF). Le sutimlimab, un anticorps monoclonal expérimental, cible la cause sous-jacente de l'hémolyse dans la MAF en inhibant sélectivement le complément C1s.

S'il est approuvé, le sutimlimab sera le premier et le seul traitement approuvé pour cette catégorie de patients. La FDA devrait rendre sa décision le 13 novembre 2020.

La maladie des agglutinines froides est une anémie hémolytique auto-immune chronique qui amène le système immunitaire à s'attaquer par erreur aux globules rouges et à provoquer leur destruction (hémolyse). Les patients atteints de MAF peuvent présenter une anémie chronique, une profonde fatigue, des crises hémolytiques aiguës et d'autres complications potentielles, comme un risque accru d'événements thromboemboliques et une mortalité prématurée^{1,2,3}. Selon les estimations, 5 000 personnes seraient atteintes de cette maladie aux États-Unis.

« Pour l'instant, les personnes atteintes de la maladie des agglutinines froides n'ont pas accès à une option thérapeutique approuvée et souffrent d'anémie chronique et d'une grande fatigue, avec des répercussions persistantes et profondes sur leur vie » a précisé le docteur John Reed, Ph.D., Responsable Monde de la Recherche et Développement de Sanofi. *« Les résultats de notre étude de phase III pivot de 26 semaines ont clairement démontré que le sutimlimab avait un effet cliniquement significatif sur l'hémolyse médiée par le complément, qui est à l'origine de l'anémie et de la fatigue. S'il est approuvé, le sutimlimab sera le premier et le seul traitement approuvé par la FDA à remédier à l'hémolyse déclenchée par l'activation du C1, grâce à son mécanisme d'action unique, et à contribuer à soulager la charge que cette maladie chronique fait peser sur les patients. »*

La demande de licence de produit biologique repose sur les résultats de la partie A (n=24) de l'étude pivot de phase III, en ouvert, à groupe de traitement unique, dénommée CARDINAL, menée chez des patients atteints d'une MAF primitive, dont les [données ont](#)

été présentées sous forme d'abstract dans le cadre d'une session dédiée à l'actualité de la recherche au 61^e Congrès annuel de l'*American Society of Hematology*. Celles-ci ont montré que l'étude avait atteint son critère d'efficacité principal composite défini par la proportion de patients traités par sutimlimab dont le taux d'hémoglobine (Hgb) avait augmenté de 2 g/dl ou plus par rapport à sa valeur initiale ou s'était normalisé et était supérieur ou égal à 12 g/dl au moment de l'évaluation du traitement (valeur moyenne à partir des semaines 23, 25 et 26) et qui n'avaient pas reçu de transfusion sanguine entre la semaine 5 et la semaine 26. Cet essai a également atteint ses critères d'évaluation secondaires et montré que le sutimlimab agit sur le processus pathologique, améliore le taux d'hémoglobine, normalise le taux de bilirubine et améliore le score de fatigue (*Functional Assessment of Chronic Illness Therapy -Fatigue Score*).

Cibler la fraction C1s de la voie classique du complément

Le sutimlimab est conçu pour cibler et inhiber sélectivement la fraction C1s de la voie classique du complément, une composante du système immunitaire inné. Grâce à l'inhibition de la fraction C1s, le sutimlimab est réputé interrompre l'hémolyse déclenchée par l'activation du C1 dans la maladie des agglutinines froides. L'inhibition de la voie classique au niveau du C1s vise à préserver les activités fonctionnelles de surveillance immunitaire des autres voies d'activation du complément, à savoir la voie des lectines et la voie alterne.

Sanofi évalue le sutimlimab dans le cadre de l'essai clinique de phase III CADENZA actuellement mené chez des patients porteurs d'une MAF ayant reçu récemment une transfusion sanguine et, séparément, chez des patients atteints de purpura thrombopénique immunologique. Le sutimlimab a obtenu la désignation de « Découverte capitale » (*Breakthrough Therapy*) et de médicament orphelin de la FDA. Le sutimlimab est actuellement en développement clinique et aucun organisme de réglementation n'a encore évalué ses profils de sécurité et d'efficacité.

À propos de Sanofi

La vocation de Sanofi est d'accompagner celles et ceux confrontés à des difficultés de santé. Entreprise biopharmaceutique mondiale spécialisée dans la santé humaine, nous prévenons les maladies avec nos vaccins et proposons des traitements innovants. Nous accompagnons tant ceux qui sont atteints de maladies rares, que les millions de personnes souffrant d'une maladie chronique.

Sanofi et ses plus de 100 000 collaborateurs dans 100 pays transforment l'innovation scientifique en solutions de santé partout dans le monde.

Sanofi, Empowering Life, donner toute sa force à la vie.

Relations Média

Nicolas Kressmann
Tél: +1 (732) 532-5318
Nicolas.Kressmann@sanofi.com

Relations Investisseurs

Felix Lauscher
Tél.: +33 (0)1 53 77 45 45
ir@sanofi.com

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 2019 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 2019 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.

1. Broome C, et al. Increased risk of thrombotic events in cold agglutinin disease: A 10-year retrospective analysis. *Res Pract Thromb Haemost.* 2020;00:1–8.
2. Quentin A. Hill, Rajeshwari Puneekar, Jaime Morales Arias, Catherine M Broome, Jun Su; Mortality Among Patients with Cold Agglutinin Disease in the United States: An Electronic Health Record (EHR)-Based Analysis. *Blood* 2019; 134 (Supplement_1): 4790.
3. Lauren C. Bylsma, Anne Gulbech Ording, Adam Rosenthal, Buket Öztürk, Jon P. Fryzek, Jaime Morales Arias, Alexander Röth, Sigbjørn Berentsen; Occurrence, thromboembolic risk, and mortality in Danish patients with cold agglutinin disease. *Blood Adv* 2019; 3 (20): 2980–2985.