

L'étude de phase III LUNA 3 du rilzabrutinib pour le traitement de la thrombocytopénie immune a atteint son critère d'évaluation primaire

- Des données pivots de la première étude de phase III d'un BTKi dans la thrombocytopénie immune (TPI) montrent que le rilzabrutinib a le potentiel d'apporter un bénéfice clinique important aux patients atteints d'une TPI.
- Soumissions réglementaires prévues aux États-Unis et dans l'Union européenne d'ici à la fin de l'année.
- Le rilzabrutinib est l'un des 12 médicaments ou vaccins potentiels du solide portefeuille de développement de Sanofi en immunologie et témoigne de la capacité de l'entreprise à intensifier le développement d'un portefeuille de médicaments de nouvelle génération susceptibles de transformer le traitement des maladies auto-immunes.
- En plus de la TPI, le rilzabrutinib fait l'objet d'études pour le traitement de plusieurs maladies immunitaires dans l'asthme, l'urticaire chronique spontanée, le prurigo nodulaire, la maladie à IgG4 et l'anémie hémolytique à anticorps chauds.

Paris, le 23 avril 2024. Les résultats positifs de l'étude de phase III LUNA 3 montrent que la prise de rilzabrutinib 400 mg deux fois par jour a permis à des patients adultes présentant une thrombocytopénie immune (TPI) persistante ou chronique d'obtenir une réponse plaquettaire durable – ce qui correspond au critère d'évaluation primaire de l'étude. Le profil de sécurité du rilzabrutinib a été cohérent avec celui observé dans le cadre d'études antérieures.

L'étude LUNA 3 a atteint son critère d'évaluation primaire et permis de démontrer qu'une proportion significativement plus importante de patients traités par rilzabrutinib a présenté une réponse plaquettaire durable (le critère d'évaluation primaire), comparativement au placebo. Ce résultat cliniquement et statistiquement significatif a été obtenu chez des patients porteurs d'une TPI primaire qui s'étaient montrés réfractaires aux autres traitements antérieurs. Globalement, les participants à l'étude avaient reçu une médiane de quatre traitements antérieurs et leur numération plaquettaire médiane de référence s'établissait à 15 000/ μ l (le taux normal de plaquettes varie en règle générale entre 150 000 et 450 000/ μ l). Les résultats positifs obtenus au titre des principaux critères d'évaluation secondaires montrent également que le rilzabrutinib a le potentiel d'apporter des bénéfices cliniques importants aux patients qui présentent une TPI persistante ou chronique.

La Food and Drug Administration (FDA) des États-Unis a accordé [une procédure accélérée](#) (*Fast Track Designation*) au rilzabrutinib pour le traitement de la TPI en novembre 2020, après lui avoir accordé la désignation de médicament orphelin.

Houman Ashrafian

Vice-Président Exécutif, Responsable, Recherche et Développement, Sanofi

« Les résultats de cette étude démontrent que le rilzabrutinib a le potentiel de devenir le premier inhibiteur de la BTK par voie orale de sa classe pharmacothérapeutique et d'apporter des améliorations cliniquement importantes au traitement des personnes porteuses de maladies immunitaires graves comme la TPI. Les résultats de cette étude pivot témoignent de notre engagement et de notre expertise dans le domaine des maladies rares du sang et de notre capacité à bâtir un portefeuille de petites molécules inhibitrices de nouvelle génération qui sont à la fois plus sélectives et optimisées afin de donner de solides résultats en matière de sécurité et d'efficacité, comparativement aux médicaments existants. »

La thrombocytopénie immune est une maladie auto-immune grave caractérisée par la formation d'anticorps qui détruisent les plaquettes et la perturbation de la production plaquettaire

entraînant une thrombocytopénie (nombre de plaquettes inférieur à 100 000/ μ l) et une augmentation des épisodes hémorragiques engageant le pronostic vital (comme des hémorragies intracrâniennes). De plus, les patients d'une TPI sont souvent confrontés à des difficultés qui entament leur qualité de vie, comme de la fatigue et des troubles cognitifs. Avec son double mécanisme d'action qui réduit la production d'auto-anticorps pathogènes et diminue la destruction des plaquettes par les macrophages, le rilzabrutinib pourrait s'attaquer aux mécanismes sous-jacents responsables d'un large éventail de complications de la TPI.

À propos de l'étude LUNA 3

LUNA 3 (NCT04562766) est une étude de phase III, multicentrique, randomisée, évaluant l'efficacité et la sécurité du rilzabrutinib comparativement à un placebo, chez des patients adultes et adolescents présentant une TPI persistante ou chronique. Les patients ont reçu, par voie orale, soit du rilzabrutinib 400 mg, deux fois par jour, soit un placebo pendant la période de l'essai en double aveugle de 12 à 24 semaines, suivie d'une période de traitement en ouvert de 28 semaines, puis d'une période de suivi de quatre semaines ou d'une période d'extension à long terme. La partie de l'étude consacrée aux adolescents se poursuit, de même que le recrutement des patients.

Le critère d'évaluation primaire est une réponse plaquettaire durable définie comme la proportion de participants dont le nombre de plaquettes s'établit à 50 000/ μ l ou plus pendant au moins 8 des 12 dernières semaines de la période de traitement en aveugle de 24 semaines, en l'absence de traitement d'urgence. Les critères d'évaluation secondaires incluent le nombre de semaines avec réponse plaquettaire, le temps écoulé jusqu'à une réponse plaquettaire, le recours à un traitement d'urgence, la fatigue physique et le score de saignements.

Les résultats détaillés de l'étude de phase III LUNA 3 seront présentés à l'occasion d'un congrès médical dans le courant de l'année.

Le rilzabrutinib fait actuellement l'objet d'études cliniques et aucune autorité réglementaire n'a encore évalué ses profils de sécurité et d'efficacité.

À propos du rilzabrutinib

Le rilzabrutinib est un inhibiteur de la BTK covalent, réversible, par voie orale, qui a le potentiel d'être le premier ou le meilleur de sa classe pharmacothérapeutique pour le traitement de plusieurs maladies auto-immunes. La BTK, exprimée dans les lymphocytes B et les mastocytes, joue un rôle essentiel dans plusieurs processus inflammatoires et pathologiques auto-immuns. Grâce à la technologie TAILORED COVALENCY® de Sanofi, le rilzabrutinib peut inhiber sélectivement la cible BTK.

Le rilzabrutinib fait l'objet d'études pour le traitement de plusieurs maladies immunitaires, dont la thrombocytopénie immune (soumission réglementaire au 2^e semestre de 2024), l'asthme (phase II), l'urticaire chronique spontanée (passage en phase III en 2024), le prurigo nodulaire (passage en phase III en 2024), la maladie à IgG4 (résultats de phase IIb au 2^e semestre de 2024) et l'anémie hémolytique à anticorps chauds (résultats de phase IIb au 2^e semestre de 2024).

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.guendoul@sanofi.com

Sally Bain | + 1 617 834 6026 | sally.bain@sanofi.com

Victor Rouault | + 33 6 70 93 71 40 | victor.rouault@sanofi.com

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

Relations investisseurs

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

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

Arnaud Delépine | + 33 6 73 69 36 93 | arnaud.delepine@sanofi.com

Corentine Driancourt | + 33 6 40 56 92 21 | corentine.driancourt@sanofi.com

Felix Lauscher | + 1 908 612 7239 | felix.lauscher@sanofi.com

Tarik Elgoutni | + 1 617 710 3587 | tarik.elgoutni@sanofi.com

Nathalie Pham | + 33 7 85 93 30 17 | nathalie.pham@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 les pandémies ou toute autre crise globale pourraient 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 2023 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 2023 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.