

La FDA approuve Enjaymo™ (sutimlimab-jome), le premier traitement pour les patients atteints de la maladie des agglutinines froides

- Enjaymo est le seul traitement approuvé permettant de réduire le recours aux transfusions sanguines pour traiter l'hémolyse, ou destruction des globules rouges, chez l'adulte atteint de la maladie des agglutinines froides (MAF).
- Enjaymo apporte une réponse aux adultes atteints de la maladie des agglutinines froides – une maladie chronique, grave et rare du sang.

PARIS – Le 4 février 2022. La Food and Drug Administration (FDA) des États-Unis a approuvé Enjaymo™ (sutimlimab-jome) pour réduire le recours aux transfusions de globules rouges afin de traiter l'hémolyse chez l'adulte atteint de la maladie des agglutinines froides (MAF). Enjaymo est premier et seul traitement approuvé pour les personnes souffrant de la MAF et agit en inhibant la destruction des globules rouges (ou hémolyse).

Bill Sibold

Vice-Président Exécutif et Responsable Médecine de Spécialités chez Sanofi

“ Jusqu'à présent, les personnes souffrant de la maladie des agglutinines froides ne disposaient d'aucune option thérapeutique approuvée pour remédier à la destruction constante de leurs globules rouges. L'absence de globules rouges sains et viables peut déclencher une réaction en chaîne de signes et symptômes invalidants, à commencer par une anémie sévère. Enjaymo est le seul médicament approuvé permettant d'inhiber la destruction des globules rouges caractéristique de la MAF et d'empêcher en amont cette réaction en chaîne. ”

La MAF est une anémie hémolytique auto-immune rare causée par la présence d'anticorps du nom d'agglutinines froides qui se fixent à la surface des globules rouges et déclenchent un processus amenant le système immunitaire à s'attaquer par erreur aux globules rouges sains, provoquant leur destruction (ou hémolyse). Les globules rouges ayant pour fonction essentielle de transporter l'oxygène dans l'organisme, les patients atteints d'une MAF peuvent présenter une anémie sévère provoquant de la fatigue, des faiblesses, des essoufflements, des vertiges, une douleur thoracique, une fréquence cardiaque irrégulière et d'autres complications potentielles. La MAF est une maladie chronique rare du sang qui, selon les estimations, concerne près de 5 000 personnes aux États-Unis.

Enjaymo, cible la fraction C1 de la voie classique du complément

Enjaymo est un anticorps monoclonal humanisé conçu pour cibler et inhiber sélectivement la fraction C1 de la voie classique du complément, une composante du système immunitaire inné. En inhibant la fraction C1, Enjaymo empêche l'activation de la cascade du complément du système immunitaire et inhibe l'hémolyse activée par C1 caractéristique de la MAF, empêchant la destruction anormale des globules rouges sains. Enjaymo n'inhibe ni la voie des lectines ni la voie alterne.

Une approbation fondée sur les résultats de l'étude pivot de phase III CARDINAL

L'approbation d'Enjaymo aux États-Unis a pris appui sur les résultats positifs d'une étude pivot de phase III de 26 semaines, en ouvert et à groupe de traitement unique. Dénommée CARDINAL, cette étude a été menée auprès de patients atteints d'une MAF (n=24) ayant bénéficié récemment d'une transfusion sanguine.

Catherine Broome

professeur agrégé de médecine au Lombardi Comprehensive Cancer Center de l'Université Georgetown, et investigatrice principale de l'étude CARDINAL

“ Dans la maladie des agglutinines froides, c'est un peu comme si le système immunitaire se livrait une guerre contre lui-même. La destruction implacable des globules rouges sains est une réalité silencieuse quotidienne pour les personnes atteintes de cette maladie. Pour la première fois, nous disposons d'un traitement qui cible l'hémolyse médiée par le complément – la cause sous-jacente de la destruction des globules rouges chez de nombreux patients atteints d'une MAF. Dans cet essai pivot, l'anémie des patients traités par sutimlimab s'est améliorée, comme en témoignent les taux d'hémoglobine et de bilirubine mesurés pendant les 26 semaines de l'étude

Dans le cadre de cette étude, Enjaymo a atteint son principal critère composite d'efficacité, défini par la proportion de patients dont le taux d'hémoglobine s'était normalisé pour s'établir à 12 g/dl ou plus ou avait augmenté de 2 g/dl ou plus par rapport aux valeurs de départ au moment de l'évaluation du traitement (valeur moyenne aux semaines 23, 25 et 26) et qui n'avaient pas reçu de transfusions ni eu besoin de médicaments proscrits par le protocole de l'étude entre les semaines 5 et 26. Les critères d'évaluation secondaires ont également été atteints, en particulier en ce qui concerne l'amélioration du taux d'hémoglobine et la normalisation du taux de bilirubine.

- La majorité des patients (54 %; n=13) ont atteint le critère d'évaluation composite : 63 % (n=15) d'entre eux ont obtenu soit un taux d'hémoglobine supérieur ou égal à 12 g/dl, soit une augmentation de leur taux d'hémoglobine d'au moins 2 g/dl ; 71 % (n=17) n'ont pas eu besoin de transfusions après la semaine 5 du traitement ; et 92 % (n=22) d'entre eux n'ont pas eu besoin d'autres traitements pour leur maladie.
- S'agissant des critères d'évaluation secondaires se rapportant au processus pathologique, le taux d'hémoglobine des patients inclus dans l'étude a augmenté en moyenne de 2,29 g/dl (SE : 0,308) à la semaine 3 et de 3,18 g/dl (SE : 0,476) au moment de l'évaluation du traitement de 26 semaines, par rapport à un taux moyen de départ de 8,6 g/dl. La réduction moyenne des taux de bilirubine (n=14) s'est établie à -2,23 mg/dL (IC à 95 % : -2,49 à -1,98) par rapport à un taux initial moyen de 3,23 mg/dL (2,7 fois la limite supérieure à la normale).

Dans le cadre de l'étude CARDINAL, les événements indésirables les plus fréquents, observés chez 10 % ou plus des patients, ont été les infections des voies respiratoires, les infections virales, la diarrhée, la dyspepsie, la toux, l'arthralgie, l'arthrite et les œdèmes périphériques. Des réactions indésirables graves ont été rapportées chez 13 % (3 patients sur 24) des patients traités par Enjaymo : sepsis à streptocoques et infection d'une plaie par staphylocoque (n=1), arthralgie (n=1) et infection des voies respiratoires (n=1). Aucune de ces réactions indésirables n'a entraîné l'arrêt du traitement par Enjaymo pendant l'étude. Les interruptions d'administration du médicament pour cause de réactions indésirables ont concerné 17 % (4 patients sur 24) des patients traités par Enjaymo.

À la fin de la période de traitement de 26 semaines de l'étude CARDINAL (partie A), les patients éligibles ont continué de recevoir Enjaymo dans le cadre d'une étude de prolongation.

La posologie recommandée d'Enjaymo est fonction du poids corporel (6 500 mg pour les personnes pesant entre 39 et 75 kg et 7 500 mg pour celles pesant plus de 75 kg). Enjaymo est administré par perfusion intraveineuse une fois par semaine pendant les deux premières semaines, puis toutes les deux semaines par la suite.

Enjaymo devrait être disponible aux États-Unis dans les prochaines semaines. Le prix « catalogue » de ce produit aux États-Unis, ou prix de gros (WAC, *Wholesale Acquisition Cost*), s'établit à 1 800 dollar le flacon. Les coûts réels pour les patients sont généralement inférieurs dans la mesure où les prix « catalogue » ne tiennent pas compte des éventuelles garanties de leur assurance maladie, des programmes de co-paiement ou de l'aide financière que peuvent leur apporter les programmes d'aide aux patients. Dans le cadre de [son engagement en faveur de l'accès aux traitements innovants à un coût abordable](#), Sanofi a mis en place *Enjaymo Patient Solutions*, des programmes d'éducation sur la maladie, d'aide financière et de co-paiement, ainsi que d'autres services de soutien pour les patients éligibles. Pour plus d'informations, prière de composer le 1-833-223-2428.

La FDA a accordé la désignation de « Médicament innovant » (*Breakthrough Therapy*) et de Médicament orphelin à Enjaymo, de même qu'un examen prioritaire -- une procédure réservée aux médicaments qui, s'ils sont approuvés, représentent des améliorations significatives en termes de sécurité et d'efficacité dans le traitement de maladies graves. En dehors des États-Unis, le sutimlimab a été soumis pour approbation aux autorités réglementaires d'Europe et du Japon où les demandes correspondantes sont en cours d'examen.

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

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

Relations investisseurs

Eva Schaefer-Jansen | + 33 7 86 80 56 39 | eva.schaefer-jansen@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

Priya Nanduri | +1 908 981 5560 | priya.nanduri@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 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 2020 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 2020 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.