

Le NEJM publie les données de phase III de l'étude XTEND-Kids montrant qu'ALTUVIIIIO a le potentiel de transformer la prise en charge thérapeutique des enfants atteints d'hémophilie A sévère

- ALTUVIIIIO, à raison d'une dose par semaine, permet d'obtenir des taux soutenus d'expression du facteur VIII chez les enfants de moins de 12 ans atteints d'hémophilie A.
- Les résultats de l'étude XTEND-Kids montrent que, dans l'hémophilie A, ALTUVIIIIO confère une protection hautement efficace contre les saignements, sans entraîner le développement d'inhibiteurs du facteur VIII.

Paris, le 17 juillet 2024 – Les résultats complets de l'étude de phase III XTEND-Kids [publiés](#) dans *The New England Journal of Medicine (NEJM)* illustrent l'efficacité, la sécurité d'emploi et le profil pharmacocinétique d'ALTUVIIIIO [facteur antihémophilique (recombinant), protéine de fusion Fc-VWF-XTEN]. ALTUVIIIIO (efanesoctocog alpha), premier facteur VIII de remplacement à action soutenue de sa classe pharmacothérapeutique, est approuvé pour la prophylaxie de routine, le traitement à la demande des épisodes hémorragiques et la prise en charge péri-opératoire (chirurgicale) de l'adulte et de l'enfant atteints d'hémophilie A.

Dr Lynn Malec

Directrice médicale, *Comprehensive Center for Bleeding Disorders*, chercheuse associée, *The Versiti Blood Research Institute* et professeure agrégée de médecine et de pédiatrie, *The Medical College of Wisconsin*

« Les enfants représentent une population chez laquelle il a toujours été difficile de prévenir efficacement les saignements. Les résultats publiés aujourd'hui représentent une avancée importante dans les efforts que nous déployons pour optimiser le traitement de référence de l'hémophilie. Parvenir à obtenir une activité soutenue du facteur au moyen d'une dose hebdomadaire permet d'éviter d'avoir à choisir entre un traitement de substitution difficile à supporter et l'efficacité, ce qui est souvent le cas dans le traitement de l'hémophilie sévère. »

L'étude pivot XTEND-Kids, dont les résultats sont publiés dans le *NEJM*, montrent qu'ALTUVIIIIO a satisfait les critères d'évaluation primaire et secondaires de l'étude, qui incluaient le développement d'inhibiteurs du facteur VIII et le taux de saignements annualisé (TSA). Les résultats montrent également qu'aucun inhibiteur du facteur VIII n'a été détecté chez les patients traités par ALTUVIIIIO (0% [intervalle de confiance (IC) à 95 %] 0-5]). Dans le cadre de l'étude ayant inclus 73 patients traités selon le protocole, le taux annuel médian de saignements s'est établi à 0,00 (écart interquartile : 0,00-1,02) et le taux annuel moyen de saignements estimé (IC à 95 %), à 0,61 (0,42-0,90). Chez l'enfant, la clairance sanguine des concentrés de facteur est supérieure à celle observée chez l'adulte, ce qui oblige souvent à leur injecter des facteurs VIII de remplacement classiques ou à demi-vie prolongée deux à quatre fois par semaine.

La prévention des saignements dans les articulations est essentielle pour la santé articulaire tout au long de la vie. Aucun saignement articulaire n'a été observé chez 82 % des enfants traités par ALTUVIIIIO, une fois par semaine, ce qui montre qu'une prophylaxie hebdomadaire par ALTUVIIIIO a le potentiel de protéger durablement la santé des articulations.

Dr Dietmar Berger, Ph. D.

Responsable Monde, Développement et Chief Medical Officer, Sanofi

« Les données de l'étude XTEND-Kids valident le lien qui existe entre une activité du facteur élevée et soutenue et l'amélioration des résultats de santé et, en particulier, de la santé articulaire. Offrir une option thérapeutique qui protège efficacement les enfants hémophiles contre les saignements au quotidien peut contribuer à tranquilliser les familles. Ces résultats témoignent de notre savoir-faire scientifique et de notre détermination à redéfinir la prise en charge des enfants atteints d'hémophilie avec ALTUVIIIIO et les autres produits de notre portefeuille dans l'hémophilie. »

ALTUVIIIIO a été bien toléré par les enfants et aucun événement indésirable n'a entraîné l'arrêt du traitement. Les événements indésirables les plus fréquemment observés (>10 %) ont été les suivants : test SARS-CoV-2 positif, infections des voies respiratoires supérieures et fièvre (pyrexie). Aucune réaction allergique grave, anaphylaxie, embolie ou thrombo-embolie n'a été rapportée.

À propos d'ALTUVIIIIO

ALTUVIIIIO [facteur antihémophilique (recombinant), protéine de fusion Fc-VWF-XTEN] est le premier facteur VIII de remplacement à action soutenue de sa classe pharmacothérapeutique. Il est conçu pour prolonger la protection contre les saignements à raison d'une dose prophylactique par semaine, chez l'adulte et l'enfant atteints d'hémophilie A. Chez l'adulte et l'adolescent, la demi-vie d'ALTUVIIIIO est trois à quatre fois plus longue que celle des facteurs VIII de remplacement classiques ou à demi-vie prolongée et permet d'obtenir une activité du facteur élevée et soutenue située dans la fourchette normale ou quasi-normale, ce qui permet de l'administrer une fois par semaine. Il s'agit du premier facteur VIII de remplacement ayant montré qu'il pouvait surmonter l'effet-plafond du facteur von Willebrand, qui limite la demi-vie des facteurs VIII de remplacement ancienne génération. ALTUVIIIIO repose sur la technologie innovante de fusion avec un fragment Fc auquel un fragment du facteur von Willebrand et des séquences polypeptidiques XTEN ont été ajoutés de manière à prolonger sa présence dans la circulation sanguine.

ALTUVIIIIO est approuvé et commercialisé aux États-Unis, à Taïwan et au Japon. Le 17 juin 2024, il a été approuvé par la Commission européenne, sous le nom d'ALTUVOCT, pour le traitement et la prévention des saignements et la prophylaxie péri-opératoire dans l'hémophilie A.

ALTUVIIIIO est le premier facteur VIII de remplacement à avoir obtenu la désignation de « médicament innovant » (*Breakthrough Therapy*) de la FDA en mai 2022. La FDA lui a également accordé une évaluation accélérée (*Fast Track*) en février 2021, de même que la désignation de médicament orphelin en 2017. La Commission européenne lui a accordé la désignation de médicament orphelin en juin 2019.

À propos de XTEND-Kids

L'étude XTEND-Kids (NCT04759131) était une étude interventionnelle en ouvert, non randomisée, de la sécurité, de l'efficacité et du profil pharmacocinétique d'une dose hebdomadaire d'ALTUVIIIIO administrée à des enfants de moins de 12 ans présentant une hémophilie A sévère ayant déjà été traitée. Les patients (n=74) ont reçu un traitement prophylactique hebdomadaire par ALTUVIIIIO (50 UI/kg) pendant 52 semaines. Le critère d'évaluation primaire était le développement d'inhibiteurs du facteur VIII. Les critères d'évaluation secondaires incluaient le taux annualisé de saignements traités, le traitement des saignements, la santé des articulations, la qualité de vie, la prise en charge péri-opératoire, le profil pharmacocinétique et la sécurité d'emploi.

Une étude d'extension en cours, XTEND-ed (NCT04644575), évalue la sécurité et l'efficacité d'ALTUVIIIIO à long terme chez des patients déjà traités atteints d'hémophilie A sévère, pendant une durée pouvant aller jusqu'à quatre ans.

À propos de l'hémophilie A

L'hémophilie A est une maladie rare qui se traduit par l'incapacité du sang à coaguler correctement, ce qui provoque des saignements excessifs et spontanés dans les articulations causant des lésions et douleurs chroniques et pouvant avoir d'importantes répercussions sur la

qualité de vie. La gravité de l'hémophilie est fonction du niveau d'activité du facteur de coagulation dans le sang, avec une corrélation négative entre le risque de saignement et les niveaux d'activité du facteur.

À propos de la collaboration entre Sanofi et Sobi

La collaboration entre Sobi et Sanofi porte sur le développement et la commercialisation d'Alprolix et d'Elocta/Eloctate. Les deux entreprises collaborent également au développement et à la commercialisation de l'efanesoctocog alpha ou ALTUVIIIIO aux États-Unis, à Taïwan et au Japon. Sobi détient les droits sur le développement final et la commercialisation sur son territoire (principalement l'Europe, l'Afrique du Nord, la Russie et la plupart des pays du Moyen-Orient). Sanofi détient les droits sur le développement final et la commercialisation en Amérique du Nord et dans tous les autres pays ne faisant pas partie du territoire couvert par Sobi.

À propos de Sobi®

Sobi est une société biopharmaceutique internationale spécialisée dans le développement de traitements qui transforment la vie des personnes atteintes de maladies rares et invalidantes. Sobi offre un accès durable à des médicaments innovants dans les domaines de l'hématologie, de l'immunologie et de la médecine de spécialités. L'entreprise emploie environ 1 800 collaborateurs en Europe, en Amérique du Nord, au Moyen-Orient, en Asie et en Australie. En 2023, Sobi a généré un chiffre d'affaires de 22,1 milliards de couronnes suédoises. Son action (STO :SOBI) est cotée au Nasdaq de Stockholm. Plus d'informations disponibles sur sobi.com et [LinkedIn](https://www.linkedin.com/company/sobi).

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. À travers le monde, nos équipes 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

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

Nicolas Obrist | + 33 6 77 21 27 55 | nicolas.obrist@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

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

Keita Browne | + 1 781 249 1766 | keita.browne@sanofi.com

Nathalie Pham | + 33 7 85 93 30 17 | nathalie.pham@sanofi.com

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

Thibaud Châtelet | + 33 6 80 80 89 90 | thibaud.chatelet@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 concernant la mise sur le marché et autre potentiel de ce produit, ou concernant les recettes futures envisagées pour ce produit. Ces déclarations prospectives peuvent souvent être identifiées par les mots « s'attendre à », « anticiper », « croire », « avoir l'intention de », « estimer », « planifier » ou « espérer », 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 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 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 futur en la matière et à l'issue de ces litiges, l'instabilité

des conditions économiques et de marché, l'impact que les pandémies ou toute autre crise mondiale 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.

Toutes les marques mentionnées dans le présent communiqué de presse sont la propriété du groupe Sanofi, à l'exception de Sobi et ALTUVOCT.