

# Qfitlia – premier médicament approuvé aux États-Unis pour le traitement des hémophilies A ou B, avec ou sans inhibiteurs

- Le Qfitlia (fitusiran), premier médicament abaissant le taux d'antithrombine pour le traitement de l'hémophilie, offre une protection homogène, à raison de six injections par an seulement. Il est disponible en stylo prérempli ou en flacon avec une seringue.
- Un mécanisme unique qui permet de réduire la fréquence des épisodes hémorragiques chez les personnes atteintes d'une hémophilie.

**Paris, le 28 mars 2025.** La Food and Drug Administration (FDA) des États-Unis a approuvé le Qfitlia (fitusiran), premier médicament abaissant le taux d'antithrombine (AT) pour le traitement prophylactique ou la réduction des épisodes hémorragiques, chez les adultes et enfants (à partir de l'âge de 12 ans) atteints d'une hémophilie A ou B, avec ou sans inhibiteurs anti-facteur VIII ou anti-facteur IX. Cette approbation repose sur les données des études de phase III ATLAS ayant permis d'obtenir une protection cliniquement significative contre les saignements, telle que mesurée par les taux de saignements annualisés (TSA), chez tous les patients atteints d'une hémophile, avec ou sans inhibiteurs.

### **Phil Gattone**

Président et Directeur Général, National Bleeding Disorders Foundation

« *Les options thérapeutiques actuelles peuvent contraindre les personnes hémophiles à choisir entre un contrôle efficace des saignements et un calendrier d'administration plus pratique, ce qui les obligent à faire des compromis en matière de prise en charge de la maladie. Le Qfitlia incarne une nouvelle approche de la protection pour les personnes atteintes d'une hémophilie, tout en réduisant la fréquence des doses pour les patients et leurs familles.* »

En abaissant le taux d'antithrombine, une protéine qui inhibe la coagulation du sang, le Qfitlia contribue à accroître la production de thrombine pour restaurer l'hémostase chez les personnes hémophiles. Le Qfitlia repose sur la technologie des petits ARN interférents, ce qui permet de réduire la fréquence des doses et d'administrer des injections de petit volume par voie sous-cutanée.

### **Brian Foard**

Vice-Président Exécutif, Responsable, Médecine de spécialités, Sanofi

« *Cette approbation illustre notre volonté d'innovation et notre détermination à améliorer la prise en charge des maladies rares du sang. Le Qfitlia a le potentiel de transformer sensiblement le paysage thérapeutique de l'hémophilie grâce à une protection efficace contre les saignements, des doses moins fréquentes et une méthode d'administration simplifiée. Notre robuste portefeuille de médicaments contre l'hémophilie continue de s'étoffer, à mesure que nous nous concentrons sur le développement de médicaments protecteurs et l'allègement de la charge des traitements, en adéquation avec les besoins de chaque patient.* »

### **Dr Guy Young**

Directeur, Centre Hémostase et Thrombose de l'Hôpital des enfants, Los Angeles

« *De tous les médicaments indiqués pour le traitement prophylactique de l'hémophilie, le Qfitlia est celui qui nécessite l'administration d'un moins grand nombre de doses. Son mécanisme d'action unique permet son utilisation pour le traitement de toutes les formes d'hémophilie, y compris avec inhibiteurs, ainsi que de l'hémophilie B, pour laquelle persistent d'importants besoins médicaux. En ciblant l'antithrombine, qu'il est possible de mesurer en toute fiabilité au moyen d'un test sanguin approuvé par la FDA, le Qfitlia a montré qu'il contribuait à rééquilibrer l'hémostase, réduire les taux de saignements et mieux protéger contre les épisodes hémorragiques.* »

Dans le cadre du programme de développement clinique ATLAS, le Qfitlia a permis de réduire les taux de saignements dans tous les sous-groupes, à raison de six injections annuelles seulement. Les principaux résultats de ce programme sont les suivants :

- Une réduction significative du taux de saignements annualisé (TSA) de 71 % chez les patients sans inhibiteurs ayant bénéficié d'une prophylaxie par Qfitlia, comparativement à un traitement à la demande par des substituts de facteur de coagulation (moyenne estimée : TSA respectivement de 9,0 contre 31,4 ;  $p < 0,0001$ ) et de 73 %, comparativement à un traitement à la demande par des agents court-circuitant l'action des facteurs anti-hémophiliques, chez les patients avec inhibiteurs (moyenne estimée : TSA respectivement de 5,1 contre 19,1 ;  $p = 0,0006$ ).
- Un TSA médian observé pendant l'étude en ouvert de 3,8 (écart interquartile ou IQR : 0,0–11,2) chez les patients sans inhibiteurs et de 1,9 (IQR : 0,0–5,6) chez les patients avec inhibiteurs.
- Un taux médian de saignements spontanés observé pendant l'étude en ouvert de 1,9 (IQR : 0,0–7,5) chez les patients sans inhibiteurs et de 1,9 (IQR : 0,0–3,7) chez les patients avec inhibiteurs.
- Près de la moitié des patients de l'étude en ouvert n'ont présenté qu'un saignement ou moins (zéro saignement pour 31 % des patients et entre zéro et un saignement pour 47 % d'entre eux).

Il existe également un risque potentiel de réactions indésirables, comme des événements thrombotiques, des troubles aigus et récurrents de la vésicule biliaire et des hépatotoxicités. Les réactions indésirables les plus fréquentes (incidence >10 %) ont été les infections virales, les rhinopharyngites et les infections bactériennes.

Parallèlement à l'approbation du Qfitlia, la FDA a également donné son feu vert au test d'antithrombine INNOVANCE® de Siemens Healthineers, un test diagnostique compagnon pour doser le taux d'antithrombine, à utiliser conjointement avec le Qfitlia. Grâce au programme de test Qfitlia mené avec Labcorp, ce test diagnostique compagnon approuvé par la FDA sera accessible aux patients auxquels le Qfitlia ou d'autres facteurs anti-hémophiliques du portefeuille de Sanofi sont prescrits.

De tous les médicaments de prophylaxie, le Qfitlia est celui qui peut nécessiter l'administration d'un moins grand nombre de doses. Son prix sera comparable à celui des autres médicaments pour le traitement prophylactique de l'hémophilie. Le programme HemAssist sera lancé en même temps que le Qfitlia de manière à fournir des services de soutien complets aux patients, dont des services d'assurance et d'assistance financière, de même que des ressources éducatives. Ce programme est destiné aux patients auxquels le Qfitlia ou d'autres facteurs anti-hémophiliques du portefeuille de Sanofi sont prescrits.

La FDA a accordé la désignation de médicament orphelin au Qfitlia pour le traitement des hémophilies A et B, un examen accéléré pour le traitement des hémophilies A et B, avec ou sans inhibiteurs anti-facteur VIII ou anti-facteur IX, de même que la désignation de « Médicament innovant » pour le traitement de l'hémophilie B avec inhibiteurs anti-facteur IX. Une soumission concernant le Qfitlia pour le traitement des hémophilies A ou B, avec ou sans inhibiteurs, de l'adulte et de l'adolescent, est actuellement examinée par les autorités réglementaires brésiliennes. Une décision réglementaire est attendue en Chine au deuxième semestre de 2025.

### *À propos de l'hémophilie*

Les hémophilies A et B sont des troubles hémorragiques congénitaux rares qui durent toute la vie et se traduisent par l'incapacité du sang à coaguler correctement, ce qui provoque des saignements excessifs et des saignements spontanés dans les articulations, causant des atteintes articulaires et des douleurs chroniques, avec d'importantes répercussions sur la qualité de vie. Les hémophilies A et B sont causées à un déficit, respectivement en facteur VIII et IX, ce qui provoque une production insuffisante de thrombine et des troubles de la coagulation. Ces phénomènes peuvent être majorés chez les personnes qui développent des inhibiteurs dirigés contre les concentrés de facteur.

### *À propos du programme de développement clinique ATLAS*

Les profils d'efficacité et de sécurité du Qfitlia sont étudiés dans le cadre du programme de développement clinique ATLAS. Il comprend les études de phase III ATLAS-INH (NCT03417102), ATLAS-A/B (NCT03417245) et ATLAS-PPX (NCT03549871), aujourd'hui terminées. Trois autres études de phase III, ATLAS-NEO (NCT05662319), ATLAS-PEDS (NCT03974113) et ATLAS OLE (NCT03754790), sont en cours.

L'étude ATLAS-OLE, en cours, est une étude de phase III en ouvert, à groupe unique, évaluant l'efficacité et la sécurité du Qfitlia moyennant l'administration d'un schéma posologique modifié en fonction du taux d'antithrombine (AT-DR), conçu pour maintenir le taux cible d'antithrombine dans une fourchette comprise entre 15 % à 35 % chez des patients ayant pris part à un essai clinique de phase III antérieur du programme ATLAS. Cette étude prévoit l'administration de doses plus faibles et moins fréquentes que dans le cadre des études antérieures sur le Qfitlia. L'efficacité du schéma AT-DR de Qfitlia a été évaluée en comparant les données sur le schéma AT-DR de l'étude ATLAS-OLE aux données témoins des études ATLAS-INH et ATLAS-A/B. Les analyses suivent le principe de l'intention de traiter.

### *À propos du Qfitlia*

Le Qfitlia (fitusiran) est le premier médicament abaissant l'antithrombine approuvé par la FDA des États-Unis pour le traitement prophylactique des épisodes hémorragiques chez les adultes et enfants (à partir de l'âge de 12 ans) atteints d'une hémophilie A ou B, avec ou sans inhibiteurs anti-facteur VIII ou anti-facteur IX. Il est administré par injection sous-cutanée au moyen d'un stylo prérempli pratique, pour la dose de 50 mg. Le Qfitlia prévient les saignements et rééquilibre l'hémostase en abaissant le taux d'antithrombine, une protéine qui inhibe la coagulation du sang, afin de promouvoir la production de thrombine. Le Qfitlia est un petit ARN interférent thérapeutique conçu au moyen de la technologie de stabilisation améliorée du conjugué ESC-GalNAc développée par Alnylam Pharmaceutical Inc.

### *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.quendoul@sanofi.com](mailto:sandrine.quendoul@sanofi.com)

**Evan Berland** | +1 215 432 0234 | [evan.berland@sanofi.com](mailto:evan.berland@sanofi.com)

**Nicolas Obrist** | +33 6 77 21 27 55 | [nicolas.obrist@sanofi.com](mailto:nicolas.obrist@sanofi.com)

**Victor Rouault** | +33 6 70 93 71 40 | [victor.rouault@sanofi.com](mailto:victor.rouault@sanofi.com)

**Timothy Gilbert** | +1 516 521 2929 | [timothy.gilbert@sanofi.com](mailto:timothy.gilbert@sanofi.com)

### *Relations investisseurs*

**Thomas Kudsk Larsen** | +44 7545 513 693 | [thomas.larsen@sanofi.com](mailto:thomas.larsen@sanofi.com)

**Alizé Kaisserian** | +33 6 47 04 12 11 | [alize.kaisserian@sanofi.com](mailto:alize.kaisserian@sanofi.com)

**Felix Lauscher** | +1 908 612 7239 | [felix.lauscher@sanofi.com](mailto:felix.lauscher@sanofi.com)

**Keita Browne** | +1 781 249 1766 | [keita.browne@sanofi.com](mailto:keita.browne@sanofi.com)

**Nathalie Pham** | +33 7 85 93 30 17 | [nathalie.pham@sanofi.com](mailto:nathalie.pham@sanofi.com)

**Tarik Elgoutni** | +1 617 710 3587 | [tarik.elgoutni@sanofi.com](mailto:tarik.elgoutni@sanofi.com)

**Thibaud Châtelet** | +33 6 80 80 89 90 | [thibaud.chatelet@sanofi.com](mailto: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 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'AMF et de la SEC, y compris ceux énumérés dans les rubriques « Facteurs de risque » et « Déclarations prospectives » du Document d'enregistrement universel 2024 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 2024 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 d'INNOVANCE.