

Le rilzabrutinib obtient la désignation de médicament orphelin aux États-Unis pour le traitement de deux maladies rares contre lesquelles il n'existe aucun médicament approuvé

- Désignation accordée pour l'anémie hémolytique à anticorps chauds et la maladie associée aux IgG4.
- Le rilzabrutinib est actuellement examiné par les autorités réglementaires des États-Unis, de l'Union européenne et de la Chine pour le traitement potentiel de la thrombocytopénie immune.

Paris, le 3 avril 2025. La Food and Drug Administration (FDA) des États-Unis a accordé la désignation de médicament orphelin au rilzabrutinib, un inhibiteur de la tyrosine kinase de Bruton (BTK) expérimental avancé, covalent, réversible, par voie orale, pour le traitement de deux maladies rares, à savoir l'anémie hémolytique à anticorps chauds et la maladie associée aux IgG4. Les patients atteints de ces deux maladies présentent encore d'importants besoins médicaux et il n'existe pour l'heure aucun médicament approuvé pour leur traitement. La FDA accorde la désignation de médicament orphelin aux médicaments expérimentaux destinés au traitement de maladies rares touchant moins de 200 000 personnes aux États-Unis.

Dr Karin Knobe, Ph.D.

Responsable Monde, Développement, Maladies rares

« La désignation de médicament orphelin pour le traitement de ces deux maladies auto-immunes rares conforte notre volonté de développer des médicaments qui soient potentiellement les premiers et les meilleurs de leur catégorie pour le traitement de maladies touchant un faible nombre de patients présentant des besoins médicaux encore non pourvus. Le fait que nous poursuivions l'étude du rilzabrutinib dans de multiples indications montre à quel point nous sommes convaincus du potentiel de ses multiples effets immunomodulateurs et témoigne de notre détermination à développer des options thérapeutiques pour le traitement de maladies aussi rares soient-elles. »

Le rilzabrutinib est actuellement examiné par les autorités réglementaires des États-Unis, de l'Union européenne et de la Chine pour le traitement potentiel de la thrombocytopénie immune (TPI). La demande d'approbation relative à la thrombocytopénie immune a bénéficié d'un examen accéléré de la FDA, qui devrait rendre sa décision le 29 août 2025. Le rilzabrutinib a également obtenu la désignation de médicament orphelin pour le traitement de la TPI aux États-Unis, dans l'UE et au Japon.

Données relatives à l'anémie hémolytique à anticorps chauds et à la maladie associée aux IgG4

Les résultats d'une étude de phase IIb du rilzabrutinib dans le traitement de l'anémie hémolytique à anticorps chauds [présentées au Congrès 2024 de l'ASH](#) (identifiant de l'étude clinique : NCT05002777) ont montré que le traitement par rilzabrutinib a permis d'obtenir des résultats cliniques significatifs en termes de taux de réponse et de réduction des marqueurs de la maladie.

Chez les patients atteints de la maladie associée aux IgG4, les résultats d'une étude de phase IIa (identifiant de l'étude clinique : NCT04520451) ont montré qu'un traitement de 52 semaines par rilzabrutinib a permis de réduire les poussées de la maladie, de même que ses marqueurs et les prises de glucocorticoïdes. Des résultats détaillés seront présentés dans le cadre d'un prochain congrès médical.

Dans le cadre de ces deux études, le profil de sécurité du rilzabrutinib a été comparable à celui observé lors d'études antérieures.

À propos du rilzabrutinib

Le rilzabrutinib est un inhibiteur de la BTK expérimental, 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, les macrophages et d'autres cellules du système immunitaire inné, 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, tout en réduisant potentiellement le risque d'effets secondaires hors cible. Compte tenu de ses multiples effets immunomodulateurs, le rilzabrutinib pourrait devenir un médicament très prometteur dans de multiples indications cliniques.

À propos de l'anémie hémolytique à anticorps chauds

L'anémie hémolytique à anticorps chauds, qui touche chaque année une à trois personnes sur 100 000 aux États-Unis, est une maladie auto-immune rare pouvant engager le pronostic vital. Elle se caractérise par la production d'auto-anticorps conduisant à la destruction prématurée des globules rouges (hémolyse). Les personnes atteintes de cette maladie peuvent présenter une grande fatigue, des thrombo-embolies, des vertiges, des palpitations et des essoufflements, car le rythme de production de nouveaux globules rouges dans leur moelle osseuse ne permet pas de compenser leur destruction prématurée avec suffisamment de rapidité.

À propos de la maladie associée aux IgG4

Chaque année aux États-Unis, la maladie associée aux IgG4 touche approximativement huit personnes adultes sur 100 000. Il s'agit d'une maladie rare, évolutive et récidivante caractérisée par une fibro-inflammation chronique pouvant toucher de multiples organes. Cette inflammation peut provoquer des lésions de fibrose susceptibles d'entraîner des dysfonctionnements irréversibles et parfois fatals des organes atteints.

À propos de la thrombocytopénie immune

La thrombocytopénie immune est une maladie auto-immune rare et complexe, caractérisée par la formation d'anticorps qui détruisent les plaquettes et perturbent leur production 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. Les personnes atteintes de cette maladie peuvent présenter des thromboses artérielles ou veineuses, causées soit par la maladie elle-même, soit par d'autres comorbidités, soit parfois par certains médicaments prescrits contre la TPI. Elles peuvent aussi présenter des symptômes facilement négligés ayant un impact significatif sur leur qualité de vie, comme une fatigue inexplicquée, de l'anxiété ou une dépression et des troubles cognitifs.

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

Léo Le Bourhis | +33 6 75 06 43 81 | leo.lebourhis@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

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

Yun Li | +33 6 84 00 90 72 | yun.li3@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 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.