

Approbation de Xenpozyme® (olipudase alpha) au Japon – premier et seul médicament approuvé pour le traitement du déficit en sphingomyélinase acide

- * Xenpozyme est le premier médicament de Sanofi approuvé dans le cadre du programme SAKIGAKE d'évaluation accélérée des médicaments.
- * Approbation fondée sur les résultats positifs de deux essais cliniques distincts menés chez des enfants et des adultes ayant permis de démontrer une amélioration de la fonction respiratoire (mesurée par la DLCO) et une diminution du volume de la rate et du foie.

Paris, le 28 mars 2022. Le ministère japonais de la Santé, du Travail et de la Protection sociale a accordé une autorisation de mise sur le marché à Xenpozyme® (olipudase alpha) pour le traitement des adultes et enfants présentant un déficit en sphingomyélinase acide sans manifestations neurologiques. Le déficit en sphingomyélinase acide est une maladie génétique, évolutive, rare et potentiellement mortelle. Xenpozyme est actuellement le seul médicament approuvé pour le traitement de cette maladie, en plus d'être le premier médicament de Sanofi approuvé dans le cadre du programme SAKIGAKE (« pionnier » en japonais), un dispositif d'évaluation accélérée mis en place par le gouvernement japonais afin de promouvoir la recherche et le développement de nouveaux médicaments innovants permettant de répondre à des besoins médicaux non pourvus.

Dr John Reed, Ph.D.

Vice-Président Exécutif, Responsable Monde, Recherche et Développement, Sanofi
« L'approbation de Xenpozyme est un moment décisif pour les patients présentant un déficit en sphingomyélinase acide et leurs familles et l'aboutissement de 20 années de recherche et d'efforts de la part d'associations partenaires de cliniciens et de patients. Premier médicament au monde approuvé pour le traitement de cette maladie, Xenpozyme représente une option thérapeutique qui pourrait potentiellement transformer la vie de cette communauté de patients longtemps négligée. Nous sommes fiers de cette réalisation et reconnaissons à l'Agence japonaise des produits de santé d'avoir reconnu l'importance des besoins non pourvus que ce médicament permet de satisfaire en lui conférant la désignation Sakigake. Sanofi collabore avec les autorités de santé de multiples pays, en particulier avec celles de l'UE où l'olipudase alpha a obtenu la désignation PRIME et aux États-Unis où cette enzymothérapie substitutive a obtenu la désignation de "Médicament innovant", pour que ce médicament important parvienne le plus rapidement possible aux patients présentant cette maladie, partout dans le monde. »

Xenpozyme est une enzyme recombinante humaine, la sphingomyélinase acide, développée pour remédier au déficit en sphingomyélinase acide, l'enzyme qui permet la dégradation du lipide sphingomyéline, ou à son défaut de fonctionnement. L'accumulation de sphingomyéline dans les cellules peut provoquer des atteintes dans les poumons, la rate et le foie, ainsi que dans d'autres organes et entraîner un décès prématuré.

L'approbation de Xenpozyme au Japon est fondée sur les résultats positifs des essais cliniques ASCEND et ASCEND-Peds qui ont permis de démontrer que Xenpozyme améliore la fonction respiratoire (mesurée par la capacité de diffusion du monoxyde de carbone ou DLCO) et entraîne une diminution du volume de la rate et du foie, avec un profil de sécurité bien toléré chez les adultes et enfants présentant un déficit en sphingomyélinase acide. Ces données ont été présentées au [Congrès virtuel annuel 2020 de l'American Society of Human Genetics \(ASHG\)](#).

Xenpozyme a été évalué chez les enfants et adultes pour le traitement des manifestations non neurologiques du déficit en sphingomyélinase acide de type A/B et de type B. Xenpozyme n'a pas été étudié chez des patients présentant un déficit en sphingomyélinase acide de type A.

Traditionnellement connu sous le nom de maladie de Niemann-Pick de type A et de type B, le déficit en sphingomyélinase acide est une maladie de surcharge lysosomale génétique, évolutive et potentiellement mortelle. Le déficit en sphingomyélinase acide regroupe plusieurs maladies causées par le même déficit enzymatique, dont deux types qui pourraient représenter les extrémités opposées d'un continuum parfois désigné sous le nom de déficit en sphingomyélinase acide de type A et de type B. Le type A/B de ce déficit représente une forme intermédiaire qui inclut des atteintes neurologiques à différents degrés. Jusqu'à présent, il n'existait aucun médicament approuvé pour cette maladie.

En dehors du Japon, l'olipudase alpha est évaluée par des organismes de réglementation partout dans le monde. La demande de licence de produit biologique (BLA, *Biologics License Application*) (BLA) relative à l'olipudase alpha a été acceptée par la Food and Drug Administration (FDA) des États-Unis, qui lui a accordé un examen prioritaire et devrait rendre sa décision au début du 3^{ème} trimestre de 2022. L'Agence européenne des médicaments (EMA) a pour sa part accordé le statut de médicament prioritaire (PRIME) à l'olipudase alpha. Sa décision est attendue au deuxième semestre de 2022.

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 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 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 2021 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 2021 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.