

Des données pivots démontrent que l'efanesoctocog alpha une fois par semaine confère une protection supérieure contre les saignements, comparativement à une prophylaxie antérieure par facteur de remplacement

- *L'étude pivot consacrée à une prophylaxie par efanesoctocog alpha, une fois par semaine, a atteint son critère d'évaluation primaire et conféré une protection cliniquement significative contre les saignements chez les personnes atteintes d'hémophilie A sévère.*
- *Ces résultats montrent que l'efanesoctocog alpha a la capacité de maintenir les concentrations de facteur à des niveaux normaux ou quasi-normaux et le potentiel de transformer le traitement prophylactique de l'hémophilie A en protégeant mieux et plus longtemps les patients.*
- *Des données supplémentaires montrent qu'une prophylaxie par efanesoctocog alpha se traduit par des améliorations cliniquement et statistiquement significatives de la santé physique et de la santé des articulations, ainsi que par une diminution de l'intensité de la douleur, chez les patients ayant reçu antérieurement une prophylaxie par facteur VIII.*

Paris et Stockholm – Le 10 juillet 2022 – Sanofi et Swedish Orphan Biovitrum AB (publ) (Sobi®) (STO:SOBI) présentent pour la première fois aujourd'hui, dans le cadre d'une séance d'actualité de dernière minute du 30^{ème} Congrès de la Société internationale de thrombose et d'hémostase (International Society on Thrombosis and Haemostasis, ISTH), les résultats positifs de l'étude pivot XTEND-1 de phase III ayant évalué la sécurité, l'efficacité et la pharmacocinétique de l'efanesoctocog alpha (BIVV001), un facteur VIII de remplacement expérimental, chez des adultes et adolescents de 12 ans ou plus atteints d'hémophilie A, déjà traités.

L'étude a atteint son critère d'évaluation primaire et montré que l'efanesoctocog alpha, en prophylaxie une fois par semaine, confère une protection cliniquement significative contre les saignements aux personnes atteintes d'hémophilie A. Le taux de saignements annualisé (TSA), moyen et médian, s'est établi à respectivement 0,00 (écart interquartile (IQR) : 0,00-1,04) et 0,71 (écart type (ET) : 1,43). L'étude a également atteint ses principaux critères d'évaluation secondaires et démontré que l'efanesoctocog alpha confère une protection supérieure contre les saignements ($p < 0,0001$), comparativement à une prophylaxie antérieure par facteur VIII, avec une réduction du TSA estimée de 77 % et un TSA moyen de 0,69, contre 2,96 pour la prophylaxie antérieure, sur la base d'une comparaison entre patients ($n=78$). Dans un sous-ensemble de participants ($n=17$), évalués au début de l'étude puis à la semaine 26, les concentrations moyennes de facteur VIII se sont maintenues dans la fourchette normale à quasi-normale (>40 IU/dl) pendant la majorité de la semaine et se sont établies à 15 IU/dl sept jours après l'administration de la dose, ce qui témoigne d'une activité accrue du facteur, à raison d'une seule dose prophylactique par semaine.

Dr Annette von Drygalski, Pharm.D.

Investigateur, Professeur et Directrice, Centre de traitement de l'hémophilie et de la thrombose, Université de Californie à San Diego

« Les données de phase III montrent qu'une dose hebdomadaire d'efanesoctocog alpha a le potentiel d'offrir une protection supérieure contre les saignements et, partant, d'améliorer sensiblement la santé physique et articulaire et de réduire l'intensité de la douleur, grâce au maintien de concentrations élevées de facteur pendant pratiquement toute la semaine. Ces

résultats sans précédent pourraient permettre aux personnes atteintes d'hémophilie A de redéfinir leurs attentes en matière de traitement. »

Chez les adultes et adolescents ayant reçu une dose hebdomadaire d'efanesoctocog alpha, les données révèlent des améliorations cliniquement et statistiquement significatives de la santé physique ($p=0,0001$) et de la santé des articulations ($p=0,0101$), de même qu'une diminution de l'intensité de la douleur ($p=0,0276$), après comparaison des mesures réalisées au début de l'étude puis à la semaine 52ⁱ. De plus, l'étude a permis d'illustrer l'efficacité de l'efanesoctocog alpha pour la prise en charge des hémorragies, en particulier dans les articulations cibles ; 96,7 % des hémorragies ont été résolues avec une dose unique de 50 IU/kg. L'efanesoctocog alpha a été bien toléré et aucun inhibiteur anti-facteur VIII n'a été détecté chez les participants à l'étude. Les événements indésirables liés au traitement les plus fréquents (>5% des participants globalement) ont été les maux de tête, l'arthralgie, les chutes et les douleurs dorsales.

Dietmar Berger, Ph.D.

Responsable Monde, Développement et Chief Medical Officer, Sanofi

« Nous sommes déterminés à développer des médicaments innovants qui bousculent le statu quo et répondent aux besoins non pourvus que les personnes atteintes de maladies rares, comme l'hémophilie, continuent de présenter. Ces robustes données illustrent l'efficacité prometteuse d'une dose hebdomadaire d'efanesoctocog alpha et montrent que ce médicament a le potentiel de devenir l'un des meilleurs de sa catégorie en termes d'efficacité. »

Dr Anders Ullman, Ph.D.

Responsable, R&D et Chief Medical Officer, Sobi

« Nous pensons que pour changer le paradigme thérapeutique de l'hémophilie A, il faut impérativement relever les objectifs du traitement et parvenir à une hémostase normale. Ces données illustrent le profil clinique de l'efanesoctocog alpha de manière très significative et montrent bien qu'il a le potentiel d'améliorer la qualité de vie des personnes hémophiles. »

La Food and Drug Administration (FDA) des États-Unis a accordé la [Désignation de « médicament innovant » \(Breakthrough Therapy\)](#) à l'efanesoctocog alpha en mai 2022, un [examen accéléré \(Fast Track\)](#) en février 2021 et la désignation de médicament orphelin en août 2017. La Commission européenne lui a également décerné le statut de médicament orphelin en juin 2019. Une demande de licence de produit biologique (*Biologics License Application*) a été soumise à la FDA des États-Unis en juin 2022. Dans l'Union européenne, cette soumission interviendra lorsque les données de l'étude en cours XTEND-Kids chez l'enfant seront disponibles. Celles-ci sont attendues en 2023.

À propos de l'étude XTEND-1 de phase III (NCT04161495)

L'étude XTEND-1 de phase III (NCT04161495) était une étude interventionnelle en ouvert, non randomisée, ayant pour but d'évaluer la sécurité, l'efficacité et la pharmacocinétique de l'efanesoctocog alpha chez des personnes de plus de 12 ans ($n=159$) atteintes d'hémophilie A sévère, ayant déjà reçu un traitement substitutif par facteur VIII. L'étude comportait deux groupes de traitement parallèles : un groupe de traitement prophylactique (groupe A, $n=133$) dans le cadre duquel les participants ayant déjà bénéficié d'une prophylaxie par facteur VIII ont commencé à recevoir une dose prophylactique hebdomadaire de 50 UI/kg de d'efanesoctocog alpha pendant 52 semaines et un groupe de traitement épisodique ou « à la demande » (groupe b, $n=26$), dans le cadre duquel les participants ont reçu une dose de 50 IU/kg à la demande pendant 26 semaines, avant de passer à un traitement prophylactique hebdomadaire pendant 26 autres semaines.

Le critère d'évaluation primaire était le taux de saignements annualisé (TSA) dans le groupe A et le principal critère d'évaluation secondaire, la comparaison entre patients du TSA pendant le traitement prophylactique hebdomadaire par efanesoctocog alpha, comparativement au TSA avec le traitement prophylactique antérieur, parmi les participants du groupe A ayant pris part à l'étude observationnelle antérieure (étude 242HA201/OBS16221).

À propos de l'hémophilie A

L'hémophilie A est un trouble hémorragique héréditaire rare qui se traduit par l'incapacité du sang à coaguler correctement en raison d'un déficit en facteur VIII. Un garçon sur 5 000 naissances de sexe masculin naît atteint d'hémophilie A chaque année. Cette maladie survient plus rarement chez les filles. Les personnes hémophiles peuvent présenter des épisodes de saignements causant des douleurs, des lésions articulaires irréversibles et des hémorragies pouvant engager le pronostic vital. Le traitement par facteur de remplacement reste la pierre angulaire de la prise en charge de cette maladie et peut être employé dans différents contextes thérapeutiques.

À propos de l'efanesoctocog alpha

L'efanesoctocog alpha, anciennement BIVV001, est un nouveau facteur VIII recombinant expérimental conçu pour prolonger la protection contre les saignements à raison d'une dose prophylactique par semaine, chez les personnes atteintes d'hémophilie A. Il 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. Il s'agit du premier facteur VIII de remplacement expérimental ayant montré qu'il pouvait surmonter l'effet-plafond du facteur von Willebrand, qui limite la demi-vie des facteur VIII de remplacement actuellement disponibles. L'efanesoctocog alpha fait actuellement l'objet d'études cliniques et aucun organisme de réglementation n'a encore évalué ses profils de sécurité et d'efficacité.

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®, ainsi que sur le développement et la commercialisation de l'efanesoctocog alpha, un facteur VIII expérimental qui pourrait permettre d'obtenir une activité du facteur soutenue et pratiquement normale avec une seule dose prophylactique hebdomadaire chez les personnes atteintes d'hémophilie A. 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 entreprise biopharmaceutique internationale spécialisée dans le développement de traitements qui transforment la vie des personnes atteintes de maladies rares. 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 1 600 collaborateurs en Europe, en Amérique du Nord, au Moyen-Orient et en Asie. En 2021, Sobi a généré un chiffre d'affaires de 15,5 milliards de couronnes suédoises. Son action (STO:SOBI) est cotée au Nasdaq de Stockholm. Plus d'informations disponibles sur sobi.com, LinkedIn et YouTube.

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.

Sanofi :

Relations médias

Sandrine Guendoul | + 33 6 25 09 14 25 | sandrine.quendoul@sanofi.com

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

Kate Conway | + 1 508 364 4931 | lisa.zobel@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 | +1 617 764 6418 | priya.nanduri@sanofi.com
Nathalie Pham | + 33 7 85 93 30 17 | nathalie.pham@sanofi.com

Sobi :
Relations médias

Pour les coordonnées de l'équipe Relations médias de Sobi, cliquer [ici](#).

Relations investisseurs

Pour les coordonnées de l'équipe Relations investisseurs de Sobi, cliquer [ici](#).

Déclarations prospectives Sanofi

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 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.

ⁱ La santé physique a été évaluée au moyen du score *Haem-A-QoL Physical Health*. L'intensité de la douleur a été évalué au moyen de l'instrument *PROMIS Pain Intensity 3a* (pire score de douleur des 7 derniers jours). La santé des articulations a été évaluée au moyen du score *Hemophilia Joint Health*.