

Le rilzabrutinib obtient la désignation de médicament orphelin aux États-Unis pour le traitement de la drépanocytose

- Quatrième désignation de médicament orphelin pour le rilzabrutinib dans les maladies rares
- En cours d'examen réglementaire aux États-Unis, dans l'UE et en Chine dans la thrombocytopénie immunitaire

Paris, 3 juin 2025. L'Agence américaine des produits alimentaires et médicamenteux (FDA) a accordé la désignation de médicament orphelin au rilzabrutinib, un nouvel inhibiteur de la tyrosine kinase de Bruton (BTK) avancé, oral et réversible qui agit par modulation multi-immune, pour cibler une réduction des crises vaso-occlusives, qui peuvent se produire par inflammation, dans la drépanocytose. La FDA accorde la désignation de médicament orphelin à des thérapies expérimentales pour traiter des maladies ou des affections médicales rares qui touchent moins de 200 000 personnes aux États-Unis.

Karin Knobe, MD, PhD

Directeur mondial du développement, Maladies rares

« La réception de notre quatrième désignation de médicament orphelin pour le rilzabrutinib renforce notre engagement continu à développer des médicaments pour répondre aux besoins médicaux non satisfaits des personnes vivant avec des maladies rares. Les personnes atteintes de drépanocytose vivent souvent avec des épisodes de douleur sévère due à des crises vaso-occlusives et d'autres complications qui peuvent avoir un impact significatif sur la qualité de vie et l'espérance de vie. Il reste un besoin de nouvelles approches thérapeutiques pour répondre à ces expériences en modulant les réponses du système immunitaire qui peuvent contribuer à la pathogenèse de la drépanocytose. »

En plus de la drépanocytose, le rilzabrutinib a reçu la désignation de médicament orphelin pour la thrombocytopénie immunitaire (TPI) aux États-Unis, dans l'UE et au Japon, pour [l'anémie hémolytique auto-immune chaude](#) (AHAIC) aux États-Unis et dans l'UE, et pour les [maladies liées aux IgG4](#) (DR-IgG4) aux États-Unis.

La sécurité d'emploi et l'efficacité du rilzabrutinib n'ont été déterminées par aucune autorité réglementaire. Le rilzabrutinib est actuellement en cours d'examen réglementaire aux États-Unis, dans l'UE et en Chine pour son utilisation potentielle dans la TPI. La date d'action cible pour la décision réglementaire de la FDA pour la TPI, qui a obtenu la désignation de voie rapide, est le 29 août 2025.

Données à l'appui de la drépanocytose

Les données précliniques sur la drépanocytose ont été [présentées lors de l'ASH 2024](#) montrant que le rilzabrutinib a aidé à réduire la vaso-occlusion (blocage des vaisseaux sanguins) et l'inflammation chez les souris transgéniques atteintes de drépanocytose.

À propos du rilzabrutinib

Le rilzabrutinib est un nouvel inhibiteur de la tyrosine kinase de Bruton (BTK) avancé, oral et réversible qui a le potentiel d'être un nouveau médicament efficace pour plusieurs maladies inflammatoires ou à médiation immunitaire rares en travaillant à restaurer l'équilibre immunitaire via une modulation multi-immune. La BTK, exprimée dans les cellules B, les macrophages et d'autres cellules immunitaires innées, joue un rôle essentiel dans de nombreux processus immunitaires et voies inflammatoires. Grâce à l'application de 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.

À propos de la drépanocytose

La drépanocytose est un groupe de maladies génétiques rares du sang dans lesquelles les globules rouges sont déformés, généralement en faucille ou en croissant, ce qui les fait rester coincés dans les petits vaisseaux sanguins, bloquant ainsi la circulation sanguine. Cela peut entraîner des épisodes de douleur sévère ainsi que d'autres complications de santé, notamment des infections, des accidents vasculaires cérébraux (AVC), des maladies pulmonaires, oculaires et rénales. La drépanocytose touche plus de 100 000 personnes aux États-Unis, dont environ 90 % sont afro-américains et 3 à 9 % sont hispaniques ou latino-américains. Environ 1 bébé sur 365 d'origine afro-américaine né aux États-Unis est atteint de drépanocytose, tandis qu'environ 1 bébé sur 13 est porteur de la maladie. Aux États-Unis, les personnes atteintes de drépanocytose ont une espérance de vie estimée 20 ans plus courte que la moyenne.

À propos de Sanofi

Sanofi est une entreprise biopharmaceutique qui innove en R&D et exploite l'IA à grande échelle pour améliorer la vie des gens et créer de la croissance à long terme. Grâce à notre compréhension approfondie du système immunitaire, nous concevons des médicaments et des vaccins qui traitent et protègent des millions de personnes dans le monde — et développons un portefeuille d'innovations thérapeutiques qui pourrait en aider des millions d'autres. Animées par une mission commune — poursuivre les miracles de la science pour améliorer la vie des gens — nos équipes œuvrent chaque jour à faire progresser la recherche, avoir un impact positif sur nos collaborateurs et les communautés que nous servons, et répondre aux grands défis de santé, d'environnement et de société de notre époque.

Sanofi est cotée sur Euronext : SAN et NASDAQ : SNY

Relations presse

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

Evan Berland | +1 215 432 0234 | evan.berland@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 avec les 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 de Sanofi

Le présent communiqué de presse contient des déclarations prospectives au sens de la loi Private Securities Litigation Reform Act de 1995, telle que modifiée. 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 au développement, les données et analyses cliniques futures, y compris après la mise sur le marché, les décisions des autorités réglementaires, telles que la FDA ou l'EMA, concernant l'approbation ou non, et à quel moment, de toute demande de médicament, d'appareil ou de produit biologique qui pourrait être déposée pour l'un de ces produits candidats, ainsi que leurs décisions concernant l'étiquetage et d'autres questions qui pourraient affecter la disponibilité ou le potentiel commercial de ces produits candidats, le fait que les produits candidats, s'ils sont approuvés, pourraient ne pas connaître de succès commercial, l'approbation future et le succès commercial d'alternatives thérapeutiques, la capacité de Sanofi à bénéficier d'opportunités de croissance externe, à réaliser des transactions connexes et/ou à obtenir des autorisations réglementaires, les risques liés à la propriété intellectuelle et à tout litige connexe en cours ou futur et l'issue finale de ces litiges, les tendances des taux de change et des taux d'intérêt en vigueur, la volatilité des conditions économiques et de marché, les initiatives de maîtrise des coûts et leurs modifications ultérieures, et l'impact que les crises mondiales peuvent avoir sur nous, nos clients, fournisseurs, vendeurs et autres partenaires commerciaux, et la situation financière de l'un d'entre eux, ainsi que sur nos employés et sur l'économie mondiale dans son ensemble. Les risques et incertitudes comprennent également les incertitudes discutées ou identifiées dans les documents publics déposés par Sanofi auprès de la SEC et de l'AMF, y compris ceux énumérés aux rubriques « Facteurs de risque » et « Avertissement concernant les déclarations prospectives » du rapport annuel de Sanofi sur Form 20-F de Sanofi pour l'exercice clos le

31 décembre 2024. Sauf si la loi en vigueur l'exige, Sanofi ne s'engage aucunement à mettre à jour ni à réviser les informations ou déclarations prospectives.

Toutes les marques citées dans le présent communiqué de presse sont la propriété du groupe Sanofi.