

Qfitlia et Cablivi de Sanofi approuvés en Chine, élargissant la prise en charge des maladies rares

- Qfitlia, premier traitement abaissant le taux d'antithrombine pour le traitement de l'hémophilie, peut offrir une protection constante avec seulement six injections par an
- Cablivi, le premier médicament Nanobody, cible le purpura thrombotique thrombocytopénique acquis/à médiation immunitaire — un trouble rare de la coagulation sanguine potentiellement mortel

Paris, le 11 décembre 2025. L'Administration nationale des produits médicaux (NMPA) en Chine a approuvé deux médicaments innovants de Sanofi pour des maladies hématologiques rares : Qfitlia (fitusiran) pour l'hémophilie et Cablivi (caplacizumab) pour le purpura thrombotique thrombocytopénique acquis. Ces approbations marquent une nouvelle étape dans l'engagement à long terme de Sanofi envers la Chine, renforçant l'ambition de l'entreprise d'apporter des médicaments transformateurs dans divers domaines thérapeutiques. Qfitlia et Cablivi constituent les quatrième et cinquième approbations de médicaments de Sanofi cette année en Chine, après Tziield pour le diabète de type 1 de stade 2 et Sarclisa pour deux indications dans le myélome multiple en rechute et nouvellement diagnostiquée.

Qfitlia est le premier traitement réducteur d'antithrombine (AT) pour la prophylaxie de routine chez les personnes atteintes d'hémophilie. Qfitlia est indiqué en prophylaxie de routine pour prévenir ou réduire la fréquence des épisodes hémorragiques chez les patients pédiatriques âgés de 12 ans et plus, et les adultes atteints d'hémophilie A sévère (déficit en facteur de coagulation VIII, FVIII<1 %) avec ou sans inhibiteurs du facteur VIII, ou d'hémophilie B sévère (déficit en facteur de coagulation IX, FIX<1 %) avec ou sans inhibiteurs du facteur IX.

Cette approbation repose sur les données des études de phase 3 ATLAS qui ont démontré une protection cliniquement significative contre les saignements, mesurée par les taux annualisés de saignement (TAS) chez les patients hémophiles avec ou sans inhibiteurs. En diminuant le taux d'AT, protéine qui inhibe la coagulation sanguine, Qfitlia contribue à augmenter la production de thrombine afin de restaurer l'hémostase chez les personnes atteintes d'hémophilie. Qfitlia utilise la technologie des ARN interférents courts, qui permet une fréquence de traitement réduite, des injections sous-cutanées et un dosage à faible volume. L'hémophilie touche plus de 40 000 personnes en Chine.

Cablivi est le premier traitement ciblé à base de Nanobody conçu pour traiter le purpura thrombotique thrombocytopénique acquis/à médiation immunitaire (PTTa/PTTi) chez les adultes et les adolescents âgés de 12 ans ou plus pesant au moins 40 kg.

Cette approbation apporte en Chine un médicament innovant spécifiquement indiqué pour ce trouble rare et potentiellement mortel de la coagulation sanguine, où environ 2 700 patients sont diagnostiqués chaque année. Malgré les traitements standards, le PTTa/PTTi présente un taux de mortalité pouvant atteindre 20 %. Cablivi cible le facteur de von Willebrand (vWF, von Willebrand factor), une protéine du sang impliquée dans l'hémostase, et est conçu pour inhiber l'interaction entre le vWF et les plaquettes. Utilisé en association avec les échanges plasmatiques et un traitement immunosuppresseur, il aide à inhiber la formation de microthrombi, qui participent aux lésions organiques au cours de la maladie.

Ces deux approbations élargissent le portefeuille d'hématologie rare de Sanofi en Chine, répondant à des besoins médicaux non satisfaits critiques dans les troubles hémorragiques chroniques comme dans les urgences thrombotiques aiguës.

*« Qfitlia représente une avancée potentiellement transformatrice pour la communauté hémophile en Chine, faisant évoluer la prise en charge du traitement des saignements au fur et à mesure qu'ils surviennent vers une approche préventive complète. En offrant une protection efficace contre les saignements et une administration simplifiée, Qfitlia a le potentiel de rendre la prophylaxie plus accessible aux personnes atteintes d'hémophilie dans le monde entier », a déclaré **Brian Foard**, vice-président exécutif et responsable de la Médecine de Spécialités chez Sanofi. « Cablivi répond à un besoin crucial non satisfait chez les patients confrontés au PTTa/PTTi. Ensemble, ces approbations soulignent l'engagement de Sanofi à apporter des innovations significatives et à améliorer la vie des personnes atteintes de maladies rares en Chine et dans le monde entier. »*

Dans le cadre du programme de développement clinique ATLAS, Qfitlia a démontré de faibles taux de saignements dans les sous-groupes avec seulement six injections par an. Les résultats clés comprennent :

- Réduction significative des saignements de 71 % du TAS chez les patients sans inhibiteurs traités par Qfitlia en prophylaxie par rapport à l'administration à la demande d'un concentré de facteur de coagulation (moyenne estimée : TAS de 9,0 contre 31,4, respectivement ; p < 0,0001) et de 73 % du TAS par rapport à l'administration à la demande d'un agent de contournement chez les patients avec inhibiteurs (moyenne estimée : TAS de 5,1 contre 19,1, respectivement ; p < 0,0006)
- La valeur médiane du TAS observée pendant l'étude d'extension en ouvert était de 3,8 (écart interquartile [IIQ] : de 0,0 à 11,2) chez les patients sans inhibiteurs et de 1,9 (IIQ : de 0,0 à 5,6) chez les patients avec inhibiteurs
- Près de la moitié des patients de l'étude d'extension en ouvert ont présenté un ou aucun saignement (47 % de 0 à 1 saignement et 31 % 0 saignement)
- À la fin de l'étude d'extension en ouvert, près de 80 % des participants suivaient un schéma thérapeutique de six injections par an, et 94 % ont atteint les niveaux cibles d'AT avec 0 à 1 ajustement de dose.

*« L'approbation de Qfitlia marque une véritable transition vers une nouvelle ère de traitement prophylactique sans facteur pour l'hémophilie en Chine. Nécessitant potentiellement seulement six injections sous-cutanées par an, il réduit considérablement le fardeau de la maladie, éliminant ainsi la nécessité d'injections intraveineuses fréquentes associées au traitement traditionnel par facteur », a déclaré **Sun Jing**, médecin-chef du service d'hématologie de l'hôpital Nanfang à l'Université médicale du Sud, Guangzhou, Chine. « En abaissant le taux d'antithrombine pour restaurer l'équilibre de la coagulation, cette innovation offre aux personnes atteintes d'hémophilie A ou B, avec ou sans inhibiteurs, une nouvelle option thérapeutique. »*

Des événements thrombotiques graves, une maladie aiguë et récurrente de la vésicule biliaire et une hépatotoxicité ont été observés chez les patients traités par Qfitlia. Les effets indésirables les plus fréquents (incidence > 10 %) sont l'infection virale, la rhinopharyngite et l'infection bactérienne.

À propos de l'hémophilie

L'hémophilie A et B sont des troubles hémorragiques rares, congénitaux et à vie, dans lesquels la capacité de coagulation sanguine d'une personne est altérée, entraînant des saignements excessifs et des saignements spontanés dans les articulations qui peuvent provoquer des lésions articulaires et des douleurs chroniques, et avoir un impact significatif sur la qualité de vie. L'hémophilie A et B sont causées respectivement par une déficience en facteur VIII et IX, entraînant une génération insuffisante de thrombine et une formation inefficace de caillots, ce qui se complique davantage chez les personnes qui développent des inhibiteurs à leur traitement par facteurs.

À propos du PTTa

Le purpura thrombotique thrombocytopénique acquis (PTTa), également connu sous le nom de purpura thrombotique thrombocytopénique à médiation immunitaire (PTTi) est un trouble auto-immun de la coagulation sanguine, très rare et potentiellement mortel, caractérisé par une formation importante de caillots dans les petits vaisseaux sanguins de tout l'organisme,

entraînant une thrombocytopénie (faible numération plaquettaire) ; une anémie hémolytique microangiopathique (perte de globules rouges par destruction) ; une ischémie (apport sanguin restreint à certaines parties du corps) ; et des lésions organiques généralisées, notamment au niveau du cerveau et du cœur.

À propos du programme de développement clinique ATLAS

L'efficacité et la sécurité d'emploi de Qfitlia sont étudiées dans le programme de développement clinique ATLAS. Le programme comprend des études ATLAS-INH de phase 3 terminées (identifiant d'étude clinique : [NCT03417102](#)), ATLAS-A/B (identifiant de l'étude clinique : [NCT03417245](#)) et ATLAS-PPX (identifiant de l'étude clinique : [NCT03549871](#)). Il existe trois études ATLAS-NEO de phase 3 en cours (identifiant d'étude clinique : [NCT05662319](#)), ATLAS-PEDS (identifiant de l'étude clinique : [NCT03974113](#)) et ATLAS OLE (identifiant de l'étude clinique : [NCT03754790](#)).

L'étude ATLAS-OLE en cours est une étude de phase 3, en ouvert, à bras unique, évaluant la sécurité d'emploi et l'efficacité de Qfitlia avec un schéma posologique AT révisé (AT dosing regimen, AT-DR), qui a été conçu pour maintenir une plage cible d'AT de 15 % à 35 % chez les patients ayant terminé un essai clinique ATLAS de phase 3 antérieur. Cette étude comprend des doses plus faibles et des doses moins fréquentes que les études précédentes sur Qfitlia. L'efficacité du traitement AT-DR Qfitlia a été évaluée en comparant les données de traitement AT-DR d'ATLAS-OLE aux données témoin des études ATLAS-INH et ATLAS-A/B. Les analyses suivent le principe de l'intention de traiter.

À propos de Qfitlia

Qfitlia (fitusiran) est le premier traitement de sa catégorie permettant d'abaisser le taux d'AT approuvé par la NMPA. Qfitlia prévient les saignements et contribue à rééquilibrer l'hémostase en diminuant l'AT, protéine qui inhibe la coagulation sanguine, afin de favoriser la production de thrombine. Qfitlia est un traitement thérapeutique par petit ARN interférent qui utilise la technologie de conjugué ESC-GalNAc d'Alnylam Pharmaceutical Inc.

L'Agence américaine des produits alimentaires et médicamenteux (Food and Drug Administration, FDA) a approuvé Qfitlia le 28 mars 2025 dans la prophylaxie de routine afin de prévenir ou de réduire la fréquence des épisodes de saignement chez les patients adultes et pédiatriques (âgés de 12 ans ou plus) atteints d'hémophilie A ou B avec ou sans inhibiteurs du facteur VIII ou IX. Des demandes supplémentaires concernant Qfitlia sont en cours d'examen auprès des autorités réglementaires du monde entier.

À propos de Cablivi

Cablivi (caplacizumab) est un nanocorps VHH bivalent anti-facteur de von Willebrand (vWF), utilisé en association avec des échanges plasmatiques et un traitement immunosupresseur, dans le cadre du traitement de patients présentant un épisode de purpura thrombotique thrombocytopénique acquis (PTTa), également connu sous le nom de purpura thrombotique thrombocytopénique à médiation immunitaire (PTTi). Cablivi est le premier et le seul traitement ciblé permettant de bloquer la formation de microthrombi, petits caillots sanguins qui se forment dans la microvasculature, contribuant ainsi à prévenir les lésions organiques. Cablivi est actuellement disponible dans près de 30 pays, dont les États-Unis, l'UE, le Royaume-Uni, la Suisse, le Brésil, la Colombie, le Japon et cinq États de la région du Golfe. Cablivi a obtenu un examen prioritaire pour son approbation en Chine, ainsi qu'une désignation d'examen prioritaire par la FDA pour une extension d'indication en attente afin d'inclure le traitement des adolescents âgés de 12 ans et plus.

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 réaliser une 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 bénéficier à des millions d'autres. Animées par une mission commune consistant à 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
Lea Ubaldi | +33 6 30 19 66 46 | lea.ubaldi@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

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 commerciales citées dans ce communiqué de presse sont la propriété du groupe Sanofi