

Le Nexviazyme de Sanofi a atteint tous les critères d'évaluation principaux et secondaires dans une étude de phase III sur la forme infantile de la maladie de Pompe

- Le Nexviazyme a atteint son objectif principal, à savoir la proportion de participants vivants et exempts de ventilation invasive, chez des nourrissons naïfs de tout traitement âgés de zéro à six mois dans l'étude de phase III Baby-COMET.
- Sanofi a l'intention de soumettre les données pour appuyer un dossier de demande d'autorisation aux États-Unis pour le traitement de la maladie de Pompe à début infantile.

Paris, le 30 juin 2026. Les résultats positifs de l'étude de phase III Baby-COMET, à bras unique et en ouvert (identifiant de l'étude clinique : [NCT04910776](#)), ont démontré que le Nexviazyme (avalglucosidase alfa) a atteint son critère d'évaluation principal : la proportion de participants pédiatriques naïfs de traitement, âgés de six mois et moins, atteints de la maladie de Pompe à début infantile (IOPD pour infantile-onset Pompe disease), vivants et sans ventilation invasive à 52 semaines de traitement. De plus, l'étude a atteint tous ses critères d'évaluation secondaires, notamment la proportion de participants vivants et exempts de ventilation invasive à l'âge de 12 et 18 mois, ainsi que des améliorations numériques d'autres mesures de progression de la maladie à 52 semaines.

Les résultats seront présentés le 8 juillet 2026 lors du 19e Congrès international sur les maladies neuromusculaires, à Florence, en Italie. En outre, ces données viendront étayer une demande d'extension d'indication aux États-Unis, attendue au cours du second semestre 2026.

La maladie de Pompe est une maladie neuromusculaire rare, héréditaire et évolutive, causée par un déficit en enzyme alpha-glucosidase acide (GAA), qui affecte la fonction musculaire dans l'ensemble de l'organisme. L'IOPD constitue la forme la plus agressive de cette maladie, caractérisée par une progression rapide des symptômes au cours des premiers mois de vie. En l'absence de traitement, l'IOPD entraîne de graves complications, potentiellement mortelles, touchant le cœur, la respiration et la motricité.

Le Nexviazyme est évalué comme option thérapeutique potentielle de l'IOPD. Il est conçu pour faciliter la pénétration dans les cellules et améliorer la captation de l'enzyme GAA essentielle. Cette approche pourrait favoriser l'élimination de l'excès de glycogène, qui s'accumule dans les cellules musculaires et peut endommager les muscles squelettiques et cardiaques.

Dans l'étude Baby-COMET, Nexviazyme a été bien toléré et le profil de sécurité était cohérent avec le profil établi de l'avalglucosidase alfa, sans événements indésirables émergents du traitement liés au traitement graves, ni décès, ni arrêts de traitement, et des réactions liées à la perfusion gérables chez 29,4 % des participants.

Dans l'étude Baby-COMET, le Nexviazyme a été bien toléré et les données de sécurité étaient conformes au profil établi lors des précédentes études cliniques.

« La forme infantile de la maladie de Pompe est une affection dévastatrice et rapidement évolutive qui se manifeste dès les premiers jours ou les premières semaines de vie, rendant une prise en charge précoce essentielle pour aider à améliorer la survie sans ventilation invasive au-delà d'un an », ont déclaré **Priya S. Kishnani**, MD, C.L., et Su Chen, professeure de pédiatrie, directrice médicale du YT and Alice Chen Pediatrics Genetics and Genomics Center, et cheffe de la division de génétique médicale au Duke University Medical Center, Caroline du Nord, États-Unis. « L'étude Baby-COMET montre le potentiel de l'avalglucosidase alfa pour favoriser la survie sans ventilation chez les nourrissons, tout en obtenant des résultats encourageants sur le plan cardiaque et moteur, apportant ainsi des enseignements importants susceptibles de faire progresser les options thérapeutiques pour ces patients. »

« Ces résultats positifs offrent la possibilité d'élargir l'accès au Nexviazyme à un plus grand nombre de patients et de familles confrontés à une maladie pour laquelle les options thérapeutiques sont limitées durant les tout premiers mois de vie », a déclaré **Houman Ashrafian**, Vice-Président Exécutif, Responsable de la Recherche et Développement chez Sanofi. « Les résultats de Baby-COMET sont cohérents avec ceux des études précédentes et reflètent des années de recherche scientifique visant à transformer une compréhension approfondie de la biologie en avancées cliniques pour la communauté des personnes atteintes de la maladie de Pompe. »

Le Nexviazyme est approuvé dans plusieurs pays pour le traitement des personnes vivant avec la maladie de Pompe, les indications spécifiques variant selon les pays. Aux États-Unis, le Nexviazyme a été approuvé en 2021 pour le traitement de la maladie de Pompe à début tardif (LOPD pour late-onset Pompe disease) chez les patients âgés d'un an et plus. En Europe, où le médicament est commercialisé sous le nom de Nexviadyme, il a été approuvé en 2022 comme traitement enzymatique substitutif à long terme des patients atteints de la maladie de Pompe (LOPD et IOPD).

Le Nexviazyme dans l'IOPD fait actuellement l'objet d'études cliniques aux États-Unis, et sa sécurité et son efficacité dans cette indication n'ont pas été évaluées par la FDA.

À propos de la maladie de Pompe

Les personnes atteintes de la maladie de Pompe présentent de faibles taux de l'enzyme GAA, ce qui entraîne une accumulation de glycogène dans les cellules musculaires de l'ensemble de l'organisme, provoquant des lésions potentiellement irréversibles des muscles squelettiques et cardiaques.

La maladie de Pompe peut se présenter sous la forme d'une IOPD, la forme la plus sévère de la maladie, caractérisée par une apparition précoce des symptômes durant la petite enfance et une évolution rapide, ou d'une LOPD, qui endommage progressivement les muscles au fil du temps. En l'absence de traitement, l'IOPD peut entraîner une insuffisance cardiaque et le décès au cours de la première année de vie, tandis que les personnes atteintes de LOPD peuvent nécessiter une ventilation mécanique pour les aider à respirer ou un fauteuil roulant pour faciliter leurs déplacements à mesure que la maladie progresse.

À propos du Nexviazyme

Le Nexviazyme (avalglucosidase alfa) est une enzymothérapie substitutive (ERT) conçue avec une forte affinité de liaison pour cibler le récepteur du mannose-6-phosphate (M6P), principale voie d'absorption et de transport de l'ERT. Le Nexviazyme vise à contribuer à améliorer la captation et à favoriser l'élimination du glycogène dans les tissus cibles grâce à un niveau de résidus M6P environ 15 fois supérieur à celui du Myozyme/Lumizyme (alglucosidase alfa).

À propos de l'étude Baby-COMET

L'étude de phase III Baby-COMET est une étude internationale, multicentrique, ouverte et à bras unique évaluant le Nexviazyme chez des participants pédiatriques naïfs de tout traitement atteints d'IOPD, âgés de 12 mois ou moins. Dix-sept participants ont reçu du Nexviazyme par voie intraveineuse à la dose de 40 mg/kg une semaine sur deux. Après une période de sélection de quatre semaines, les participants ont reçu un traitement pendant 52 semaines, suivi d'un traitement poursuivi pendant 52 semaines supplémentaires, puis jusqu'à 104 semaines additionnelles, avec un suivi quatre semaines plus tard. L'objectif principal est la proportion de participants vivants et exempts de ventilation invasive à la semaine 52 du traitement. Les principaux critères d'évaluation secondaires comprenaient la proportion de participants vivants et exempts de ventilation invasive à l'âge de 12 et 18 mois, ainsi que la variation entre la ligne de base et la semaine 52 du score Z de la masse ventriculaire gauche, du score de l'Alberta Infant Motor Scale et du taux urinaire de tétrasaccharide de glucose.

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. Nous appliquons notre connaissance approfondie du système immunitaire pour inventer des médicaments et des vaccins qui traitent et protègent des millions de personnes dans le monde entier, avec un pipeline innovant qui pourrait bénéficier à des millions d'autres. Notre équipe est guidée par un seul objectif : nous poursuivons les miracles de la science pour améliorer la vie des gens ; cela nous inspire pour stimuler le progrès et avoir un impact positif pour nos collaborateurs et les communautés que nous servons, en s'attaquant aux défis les plus urgents de notre époque en matière sanitaire, environnementale, et sociétale. 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 | +1 617 356 4751 | victor.rouault@sanofi.com
Timothy Gilbert | +1 516 521 2929 | timothy.gilbert@sanofi.com
Léa Ubaldi | +33 6 30 19 66 46 | lea.ubaldi@sanofi.com
Ekaterina Pesheva | +1 410 926 6780 | ekaterina.pesheva@sanofi.com
Laura Romby | +33 6 74 16 74 29 | laura.romby@sanofi.com

Relations investisseurs

Thomas Kudsk Larsen | + 44 7545 513 693 | thomas.larsen@sanofi.com
Alizé Kaiserian | + 33 6 47 04 12 11 | alize.kaiserian@sanofi.com
Keita Browne | + 1 781 249 1766 | keita.browne@sanofi.com
Nathalie Pham | + 33 7 85 93 30 17 | nathalie.pham@sanofi.com
Nina Goworek | +1 908 569 7086 | nina.goworek@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 – 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. Les termes tels que « s'attendre à », « anticiper », « croire », « avoir l'intention de », « estimer », « planifier », « pouvoir », « envisager », « pourrait », « est conçu pour », « peut », « pourrait », «

potentiel », « objectif », « tentative », « cible », « projeter », « stratégie », « s'efforcer », « souhaiter », « prédire », « prévoir », « ambition », « ligne directrice », « chercher à », « devrait », « sera », « but », ou leur forme négative, ainsi que d'autres termes similaires sont destinés à identifier des déclarations prospectives. 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 Food and Drug Administration américaine ou l'Agence européenne des médicaments, 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 ; les actions et contretemps réglementaires inattendus ou les réglementations étatiques en général ; les décisions des autorités concernant l'approbation ou non d'un produit candidat et le calendrier de cette approbation ; les pressions politiques aux États-Unis visant à imposer des prix plus bas pour les médicaments, notamment par la clause dite de la « nation la plus favorisée » pour les médicaments couverts par Medicare ; 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 ou obtenir les autorisations réglementaires y relatives, dont celles portant sur les données cliniques futures et l'analyse des données cliniques existantes relatives au produit, notamment les données post-commercialisation ; les problèmes imprévus de sécurité, de qualité ou de fabrication, la concurrence en général ; les risques associés à la propriété intellectuelle à tout litige en cours futur en la matière et à l'issue de ces litiges ; l'évolution des taux 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'Autorité des marchés financiers (AMF) et de la Securities and Exchange Commission (SEC) aux États-Unis, y compris ceux énumérés dans les rubriques « Facteurs de risque » et « Déclarations prospectives » du Document d'enregistrement universel 2025 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 2025 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. Au regard de ces risques, incertitudes et estimations, il convient de ne pas accorder une confiance excessive aux déclarations prospectives.

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