

L'efdoralprine alfa de Sanofi obtient la désignation de médicament orphelin dans l'UE pour l'emphysème lié au déficit en alpha-1-antitrypsine

- Une désignation de médicament orphelin supplémentaire renforce l'engagement de Sanofi à développer des traitements pour les maladies rares
- L'efdoralprine alfa, un traitement recombinant de restauration expérimental, a récemment satisfait à tous les critères d'évaluation principaux et secondaires clés dans une étude comparative de phase 2 par rapport à un traitement standard dérivé du plasma

Paris, le 17 décembre 2025. L'Agence européenne des médicaments (*European Medicines Agency*, EMA) a accordé la désignation de médicament orphelin à l'efdoralprine alfa (SAR447537, anciennement connu sous le nom de INBRX-101), une protéine de fusion recombinante de l'alpha-1 antitrypsine (AAT)-Fc humaine expérimentale, pour le traitement potentiel de l'emphysème lié au déficit en alpha-1 antitrypsine (DAAT), une affection respiratoire rare présentant un besoin médical non satisfait important.

L'EMA accorde une désignation de médicament orphelin à des nouveaux médicaments potentiels visant à traiter des maladies ou affections médicales rares, mettant en jeu le pronostic vital ou invalidantes, qui n'affectent pas plus de 5 personnes sur 10 000 dans l'UE.

L'efdoralprine alfa a démontré sa supériorité par rapport à un traitement standard dérivé du plasma chez les adultes atteints de DAAT lorsqu'elle est administrée toutes les trois semaines (Q3S) ou quatre semaines (Q4S), en répondant à tous les critères d'évaluation principaux et secondaires clés dans l'étude internationale de phase 2 ElevAATe (identifiant d'étude clinique : [NCT05856331](#)).

L'Agence américaine des produits alimentaires et médicamenteux (*Food and Drug Administration*, FDA) a précédemment accordé la désignation de médicament orphelin et d'évaluation accélérée (« Fast track ») à l'efdoralprine alfa pour le traitement de l'emphysème lié au DAAT. L'efdoralprine alfa est actuellement en développement clinique, et sa sécurité d'emploi et son efficacité n'ont été évaluées par aucune autorité réglementaire. Sanofi prévoit de présenter les données lors d'une réunion médicale à venir et de discuter avec les autorités réglementaires mondiales des étapes suivantes appropriées.

À propos de l'efdoralprine alfa

L'efdoralprine alfa (SAR447537, anciennement connu sous le nom d'INBRX-101) est une protéine de fusion recombinante de l'AAT-Fc humaine qui est étudiée chez les adultes atteints d'emphysème lié au DAAT, avec une administration toutes les 3 ou 4 semaines. Le traitement recombinant de restauration expérimental est en cours d'étude pour restaurer les taux fonctionnels d'AAT à la normale et inhiber l'élastase des neutrophiles, une enzyme qui peut endommager les tissus pulmonaires chez les patients atteints de DAAT. L'efdoralprine alfa s'est vu accorder la désignation d'évaluation accélérée et la désignation de médicament orphelin par la FDA pour le traitement de l'emphysème lié au DAAT outre cette dernière désignation de médicament orphelin par l'EMA.

À propos du DAAT

Le DAAT est un trouble héréditaire rare caractérisé par de faibles taux ou l'absence d'AAT, une protéine produite par le foie qui protège les poumons contre l'inflammation et les dommages. La maladie provoque une détérioration progressive des tissus pulmonaires et hépatiques. En l'absence de taux adéquats d'AAT, les personnes touchées présentent souvent des lésions pulmonaires et développent une BPCO, comprenant l'emphysème, et dans les formes sévères de la maladie, les patients peuvent parfois nécessiter une transplantation pulmonaire. Des

thérapies dérivées du plasma ont été introduites en 1987 pour traiter la maladie, mais depuis lors, aucune nouvelle thérapie n'a été introduite. Environ 235 000 personnes dans le monde vivent avec un DAAT, dont près de 100 000 personnes aux États-Unis, mais environ 90 % des personnes atteintes d'un DAAT ne sont probablement pas diagnostiquées.

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 nous 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.quendoul@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
Léa 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
Keita Browne | +1 781 249 1766 | keita.browne@sanofi.com
Nathalie Pham | +33 7 85 93 30 17 | nathalie.pham@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. 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 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 citées dans le présent communiqué de presse sont la propriété du groupe Sanofi.