

ALTUVIIIIO® une fois par semaine, une nouvelle classe de facteur VIII de remplacement, approuvé au Japon pour le traitement de l'hémophilie A

- ALTUVIIIIO, premier facteur VIII de remplacement à action soutenue de sa classe pharmacothérapeutique, confère une protection hautement efficace contre les saignements, chez l'adulte et l'enfant atteints d'hémophilie A.
- L'approbation démontre l'engagement à fournir une innovation et un changement de paradigme dans la manière dont est traitée l'hémophilie.

Paris, le 25 septembre 2023. Le ministère japonais de la Santé, du Travail et de la Protection sociale a délivré une autorisation de mise sur le marché à ALTUVIIIIO® [facteur antihémophilique (recombinant), protéine de fusion Fc-VWF-XTEN] – premier facteur VIII de remplacement à longue durée d'action de sa classe pharmacothérapeutique. ALTUVIIIIO est indiqué pour le contrôle des saignements chez les patients atteints d'hémophilie A (déficit en facteur VIII). ALTUVIIIIO a également été approuvé le 31 août 2023 par la Taiwan Food and Drug Administration pour le traitement de l'hémophilie A de l'adulte et de l'enfant.

ALTUVIIIIO, également dénommé efanesoctocog alpha, est le premier et le seul traitement contre l'hémophilie A qui permet d'obtenir des niveaux d'activité du facteur normaux ou quasi-normaux (supérieurs à 40 %) pendant presque toute la semaine, à raison d'une dose hebdomadaire, chez l'adulte comme chez l'adolescent, et de réduire significativement les saignements comparativement à une prophylaxie antérieure par facteur VIII pour le traitement de l'hémophilie A sévère de l'adulte et de l'adolescent. ALTUVIIIIO peut être administré pour la prophylaxie de routine et le traitement ponctuel afin de contrôler les épisodes hémorragiques, ainsi que pour la prise en charge périopératoire (chirurgicale). La dose unique recommandée de 50 UI/kg s'applique à tous les patients, indépendamment du scénario clinique.

Brian Foard

Vice-Président Exécutif, Responsable Monde, Médecine de spécialités par intérim, Sanofi
« L'approbation d'ALTUVIIIIO au Japon et à Taïwan est une avancée majeure pour les personnes atteintes d'hémophilie A dans ces pays. Les niveaux d'activité élevés et soutenus du facteur permettront aux patients et aux médecins de réimaginer la vie avec l'hémophilie. ALTUVIIIIO incarne la promesse de Sanofi de développer des médicaments qui sont les premiers et les meilleurs de leur classe pharmacothérapeutique, redéfinissent les paradigmes thérapeutiques et, dans le cas présent, transforment la prise en charge des personnes atteintes d'hémophilie A partout dans le monde. »

L'hémophilie A est une maladie rare qui dure toute la vie et se traduit par l'incapacité du sang à coaguler correctement, ce qui provoque des saignements excessifs et spontanés dans les articulations causant des lésions et douleurs chroniques et pouvant avoir d'importantes répercussions sur la qualité de vie. La gravité de l'hémophilie est fonction du niveau d'activité du facteur de coagulation dans le sang, avec une corrélation négative entre le risque de saignement et les niveaux d'activité du facteur.

L'approbation du ministère japonais de la Santé, du Travail et de la Protection sociale repose sur les données positives obtenues chez des patients qui présentent une hémophilie A sévère, dont celles de l'essai pivot XTEND-1 mené chez l'adulte et l'adolescent et celles de l'essai XTEND-Kids conduit chez l'enfant de moins de 12 ans. L'étude XTEND-1 a atteint son critère d'évaluation primaire et le traitement prophylactique hebdomadaire par ALTUVIIIIO (50 UI/kg) a permis de prévenir les épisodes hémorragiques de manière cliniquement significative chez les personnes qui présentent une hémophilie A sévère, avec un taux de saignements annualisé (TSA) moyen de 0,71 (IC à 95 % : 0,52 – 0,97) et un TSA médian de 0,00 (Q1, Q3 : 0,00, 1,04). ALTUVIIIIO a également atteint son principal critère d'évaluation secondaire avec une réduction significative

du TSA de 77 %, comparativement à prophylaxie antérieure par facteur VIII, sur la base d'une comparaison entre patients (IC à 95 % : 58 %-87 %).

Dans le cadre de l'étude XTEND-Kids menée chez des enfants de moins de 12 ans, le traitement par ALTUVIIIIO (50 UI/kg), une fois par semaine pendant 52 semaines (n=73), a permis d'obtenir un TSA moyen de 0,6 (IC à 95 % : 0,4 – 0,9) et un TSA médian de 0 (Q1, Q3 : 0,0 – 1,0). Les résultats de sécurité ont été cohérents avec ceux de l'essai XTEND-1.

Dans toutes ces études, ALTUVIIIIO a présenté un profil de sécurité bien établi et aucun inhibiteur anti-facteur VIII n'a été détecté, encore que le développement d'inhibiteurs soit possible après son administration. Les effets secondaires les plus fréquents (>10 %) d'ALTUVIIIIO sont les maux de tête et l'arthralgie.

ALTUVIIIIO a été [approuvé](#) pour la première fois en février 2023 par la Food and Drug Administration (FDA) des États-Unis. Il est le premier facteur VIII de remplacement ayant bénéficié de la désignation de [Médicament innovant \(Breakthrough Therapy\)](#), que la FDA lui a décernée en mai 2022. La FDA lui a également accordé une [évaluation accélérée \(Fast Track\)](#) en février 2021, de même que la désignation de médicament orphelin en 2017. La Commission européenne lui a accordé la désignation de médicament orphelin en juin 2019 et l'Agence européenne des médicaments lui a délivré une autorisation de mise sur le marché (AMM) en mai 2023.

[À propos d'ALTUVIIIIO®](#)

ALTUVIIIIO [facteur antihémophilique (recombinant), protéine de fusion Fc-VWF-XTEN] est le premier facteur VIII de remplacement de sa classe pharmaceutique. Il est conçu pour prolonger la protection contre les saignements à raison d'une dose prophylactique par semaine, chez l'adulte et l'enfant atteints d'hémophilie A. Chez l'adulte et l'adolescent, la demi-vie d'ALTUVIIIIO est trois à quatre fois plus longue que celle des facteurs VIII de remplacement classiques ou à demi-vie prolongée et permet d'obtenir une activité du facteur élevée et soutenue située dans la fourchette normale ou quasi-normale, ce qui permet de l'administrer une fois par semaine. Il s'agit du premier facteur VIII de remplacement ayant montré qu'il pouvait surmonter l'effet-plafond du facteur von Willebrand, qui limite la demi-vie des facteurs VIII de remplacement ancienne génération. ALTUVIIIIO 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 sanguine.

[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®. Les deux entreprises collaborent également au développement et à la commercialisation de l'efanesoctocog alpha ou ALTUVIIIIO aux États-Unis. 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 et invalidantes. 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, en Asie et en Australie. En 2022, Sobi a généré un chiffre d'affaires de 18,8 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.

Relations médias

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

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

Evan Berland | +1 215 432 0234 | evan.berland@sanofi.com

Victor Rouault | + 33 6 70 93 71 40 | victor.rouault@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

Tarik Elgoutni | + 1 617 710 3587 | tarik.elgoutni@sanofi.com

Nathalie Pham | + 33 7 85 93 30 17 | nathalie.pham@sanofi.com

Déclarations prospectives

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 des pandémies ou d'autres crises mondiales pourraient 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 2022 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 2022 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.