

Le venglustat de Sanofi a reçu la désignation de thérapie innovante aux États-Unis pour la maladie de Gaucher de type 3

Paris, le 18 mars 2026. La Food and Drug Administration (FDA) des États-Unis a accordé la désignation de thérapie innovante au venglustat, un nouvel inhibiteur expérimental de la glucosylcéramide synthase (GCSi) administré par voie orale, pour le traitement des manifestations neurologiques de la maladie de Gaucher de type 3 (MG3), un trouble rare de surcharge lysosomale.

La désignation repose sur les données de l'étude de phase 3 LEAP2MONO (identifiant de l'étude clinique : [NCT05222906](#)) dans laquelle les patients recevant du venglustat ont démontré des améliorations statistiquement significatives des symptômes neurologiques mesurés par un score global de test qui comprenait des évaluations de l'ataxie (mSARA) et de la cognition (RBANS) par rapport aux patients recevant le traitement enzymatique substitutif (TES), l'imiglucérase ($p = 0,007$). Dans l'étude, le venglustat a été globalement bien toléré, sans nouveaux signaux de sécurité d'emploi par rapport aux études précédentes. Les événements indésirables les plus fréquemment rapportés étaient les maux de tête (14,3 % dans le bras venglustat contre 18,2 % dans le bras TES), les nausées (14,3 % contre 4,5 %), l'hypertrophie de la rate (14,3 % contre 0) et la diarrhée (14,3 % contre 0).

La maladie de Gaucher (MG) est une maladie lysosomale de surcharge héréditaire rare résultant d'un déficit en une enzyme appelée glucocérébrosidase, qui entraîne l'accumulation de molécules lipidiques glucidiques appelées glycosphingolipides (GSL) dans la rate, le foie, la moelle osseuse et les poumons. Il existe trois formes majeures de la maladie : La MG1, qui se caractérise par l'absence d'atteinte du système nerveux central (SNC), la MG2, qui se manifeste par un déclin neurologique rapide et des symptômes neurocognitifs graves, et la MG3, qui est marquée par une progression plus lente et plus variable, ainsi que par une sévérité des symptômes.

Chez les personnes atteintes de la MG3, l'accumulation de GSL dans le SNC peut entraîner des symptômes neurologiques, en plus des manifestations systémiques observées dans la MG1 telles que l'hypertrophie du foie et de la rate, l'anémie, la faible numération plaquettaire ou la maladie osseuse. Les manifestations systémiques de la MG3 sont traitées par TES, mais il n'existe aucun traitement approuvé pour les symptômes neurologiques. Le venglustat agit en réduisant l'accumulation anormale de GSL. Il est conçu pour traverser la barrière hémato-encéphalique afin de cibler la pathologie sous-jacente à l'origine des effets neurologiques de la MG3.

*« Cette étape réglementaire reconnaît le besoin médical non satisfait important pour les personnes vivant avec la maladie de Gaucher de type 3, en particulier celles qui présentent une détérioration neurologique progressive », a déclaré **Karin Knobe**, directrice mondiale du développement clinique, Maladies rares chez Sanofi. « Les résultats positifs de l'étude LEAP2MONO sont une avancée encourageante dans le processus de recherche et de développement, et nous continuerons à collaborer avec la FDA pour faire progresser cette option thérapeutique potentielle. »*

Le venglustat a précédemment reçu la désignation « fast-track » (procédure accélérée) de la FDA pour son utilisation potentielle dans la MG3, ainsi que la désignation de « médicament orphelin » pour la MG3 aux États-Unis, dans l'Union européenne et au Japon. Sanofi poursuivra les démarches réglementaires à l'échelle mondiale pour le venglustat dans le cadre de la MG3 en 2026.

La désignation de thérapie innovante de la FDA vise à accélérer le développement et l'examen de médicaments aux États-Unis qui ciblent des maladies graves ou mettant en jeu le pronostic vital. Les médicaments éligibles à cette désignation doivent présenter des données cliniques préliminaires indiquant que le médicament pourrait apporter une nette amélioration par rapport aux options thérapeutiques disponibles.

À propos de l'étude LEAP2MONO

L'étude de phase 3 LEAP2MONO était une étude en double aveugle, à double placebo, avec comparateur actif, à deux bras, qui a évalué l'efficacité et la sécurité d'emploi du venglustat oral une fois par jour par rapport au TES intraveineux toutes les deux semaines chez des adultes et des enfants âgés de 12 ans et plus atteints de la MG3. Quarante-trois patients ont été randomisés [1:1] pour recevoir venglustat et une perfusion placebo ou TES et un comprimé placebo. Les patients devaient avoir été traités par TES depuis au moins trois ans et avoir atteint des objectifs thérapeutiques pour les manifestations systémiques de la maladie. Les principaux critères d'évaluation de l'étude étaient la variation du score total modifié SARA et la variation du score de l'indice de l'échelle totale RBANS pour les patients recevant le venglustat par rapport à ceux recevant le TES entre l'inclusion et la semaine 52. Les principaux critères d'évaluation secondaires systémiques comprennent le pourcentage de variation du volume de la rate, du volume du foie et de la numération plaquettaire ainsi que la variation des taux d'hémoglobine. Les critères d'évaluation secondaires clés relatifs aux biomarqueurs incluent la variation en pourcentage du GL1 et du lyso-GL1 dans le liquide céphalorachidien et le plasma. L'étude LEAP2MONO est en cours et les résultats de sa phase en ouvert seront présentés à l'avenir, le cas échéant.

À propos du venglustat

Le venglustat est un nouvel inhibiteur expérimental de la glucosylcéramide synthase (GCSi) administré par voie orale, conçu pour traverser la barrière hémato-encéphalique (c.-à-d., un produit qui pénètre le cerveau), qui a le potentiel de ralentir la progression de la MG3 en inhibant l'accumulation anormale de GSL et ses conséquences physiopathologiques. Les GSL sont des éléments constitutifs cellulaires dont l'accumulation anormale est impliquée dans certaines maladies rares entraînant à la fois un dysfonctionnement cellulaire et la progression de la maladie.

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 | +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

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
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 de presse sont la propriété du groupe Sanofi.