

Nexviadyme® (avalglucosidase alpha), nouveau traitement de référence potentiel de la maladie de Pompe, a été approuvé par la Commission européenne

- * Approuvé pour le traitement des différentes formes de la maladie de Pompe – forme tardive et forme infantile.
- * Première nouvelle option thérapeutique approuvée en Europe depuis plus de 15 ans pour les patients atteints de la maladie de Pompe.

Paris, le 28 juin 2022. La Commission européenne a délivré une autorisation de mise sur le marché à Nexviadyme (avalglucosidase alpha), une enzymothérapie substitutive pour le traitement au long cours des formes tardive et infantile de la maladie de Pompe, une maladie musculaire rare, évolutive et invalidante. Nexviadyme est le premier et le seul nouveau médicament approuvé pour le traitement de la maladie de Pompe en Europe depuis 2006, date à laquelle la Commission européenne a délivré une autorisation de mise sur le marché à l'avalglucosidase alpha, commercialisée sous le nom de marque Myozyme®.

Dr Benedikt Schoser

Médecin spécialiste et Professeur, Institut Friedrich Baur, Département de neurologie, Université Louis-et-Maximilien de Munich

« L'approbation de Nexviadyme en Europe pour le traitement de la maladie de Pompe repose sur un solide corpus de données probantes qui attestent d'améliorations cliniques significatives pouvant avoir un impact sur la qualité de vie des patients. La quantité et la rigueur de ces données sont particulièrement importantes compte tenu de la complexité des activités de recherche et développement s'appliquant à une maladie aussi rare et évolutive. Le bénéfice clinique que procure Nexviadyme et l'innovation moléculaire qu'il représente permettent aujourd'hui de proposer une nouvelle option thérapeutique aux personnes atteintes de la maladie de Pompe et de répondre aux besoins médicaux non pourvus qu'elles continuent de présenter. »

Répondre aux besoins des personnes atteintes de la maladie de Pompe

La maladie de Pompe peut se présenter sous deux formes : la forme infantile, la plus grave qui apparaît très tôt dans l'enfance, et la forme tardive qui cause des atteintes progressives aux muscles. Sans traitement spécifique, la forme infantile de la maladie évolue vers une insuffisance cardiaque et le décès avant l'âge de deux ans, tandis que les personnes présentant la forme tardive peuvent avoir besoin d'une ventilation assistée pour mieux respirer ou d'un fauteuil roulant pour se déplacer, au fur et à mesure que la maladie évolue.

Nexviadyme, désormais approuvé dans de nombreux pays

Nexviadyme est approuvé dans plusieurs pays pour le traitement de certaines catégories de patients atteints de la maladie de Pompe, dont les pays de l'Union européenne, les États-Unis, le Japon, le Canada, la Suisse, l'Australie, le Brésil, Taïwan et les Émirats arabes unis. Hors Europe, ce médicament est commercialisé sous le nom de marque Nexviazyme. Aux États-Unis et au Japon, la majorité des populations traitées par Myozyme (avalglucosidase alpha) a démarré ou est sur le point de démarrer un traitement avec Nexviadyme (avalglucosidase alpha).

En novembre 2021, Sanofi a annoncé que, dans le cadre de l'examen de Nexviadyme par l'Agence européenne des médicaments (EMA), le Comité des médicaments à usage humain (Committee for Medicinal Products for Human Use, CHMP) avait rendu un avis selon lequel ce médicament ne réunissait pas les critères de « nouvelle substance active » (NAS). En avril 2022,

le Comité des médicaments orphelins (COMP) a également recommandé que Nexviadyme soit radié du Registre communautaire des médicaments orphelins.

Sanofi est en désaccord avec ces deux décisions et considère qu'elles ont été prises à l'issue d'une interprétation très étroite des principes régissant les désignations de nouvelle substance active et de médicament orphelin, qui soulignent respectivement l'innovation moléculaire et le bénéfice clinique. Sanofi s'en tient à l'ensemble des données qui établissent Nexviadyme comme un nouveau traitement de référence potentiel et s'inquiète de ce qu'une interprétation aussi étroite ne porte préjudice aux mesures visant à encourager le développement de médicaments pour le traitement de maladies rares. L'entreprise estime que ces décisions pourraient avoir des répercussions négatives sur la santé des patients en restreignant leur accès aux innovations en santé.

Bill Sibold

Vice-Président Exécutif, Médecine de spécialités, Sanofi

« Nous collaborons avec les patients et les soignants depuis plus de vingt ans et mettons notre savoir-faire scientifique au service de l'amélioration de la prise en charge des personnes atteintes de la maladie de Pompe. Nous pensons que les bénéfices cliniques significatifs que procure ce médicament sont de nature à l'établir comme un nouveau traitement de référence et nous ne ménagerons aucun effort pour faire en sorte qu'il soit le plus largement accessible en Europe, en dépit de la décision de la Commission européenne de ne pas reconnaître à Nexviadyme les désignations de nouvelle substance active et de médicament orphelin. Nous appelons les associations de patients, les décideurs, les cliniciens et les patients à se joindre à nous afin que les traitements innovants soient reconnus comme il se doit et mis à la disposition des patients. »

Nexviadyme, une nouvelle enzymothérapie substitutive pour le traitement au long cours des formes tardive et infantile de la maladie de Pompe

Des résultats positifs pour plusieurs indicateurs majeurs de la charge de la maladie

Dans le cadre d'un robuste programme de développement clinique, Nexviadyme a permis d'obtenir des différences cliniquement significatives dans certains indicateurs majeurs de la charge de la maladie chez les personnes présentant une forme tardive et une forme infantile de la maladie de Pompe.

Les résultats à 49 semaines de l'étude COMET, qui a comparé Nexviadyme à l'α-glucosidase alpha dans le traitement de la forme tardive de la maladie de Pompe, ont notamment été les suivants :

- Comparativement aux valeurs de départ, la capacité vitale forcée (CVF, exprimée en pourcentage prévu) des patients traités par Nexviadyme s'est améliorée de 2,9 % (SE=0,9). La CVF est une mesure clé de la fonction pulmonaire et constituait le critère d'évaluation primaire de l'étude. Ce résultat représente une amélioration supérieure de 2,4 %, comparativement au changement observé chez les patients traités par α-glucosidase alpha – une différence qui dépasse la marge de non-infériorité (p=0,0074; IC à 95 % : -0,13 / 4,99). La supériorité statistique n'a pas pu être démontrée (p=0,06), mais de très peu.
- Les patients traités par Nexviadyme ont parcouru 32,2 mètres de plus (SE=9,9), comparativement au départ, au test de marche de 6 minutes (TM6), principal critère d'évaluation secondaire, soit 30 mètres de plus (IC à 95 %, 1,33 / 58,69) que le changement observé chez les patients traités par α-glucosidase alpha. Tous les critères d'évaluation secondaires n'ont pas fait l'objet d'analyses statistiques formelles.

Les résultats de l'étude Mini-COMET évaluant Nexviadyme chez des patients porteurs de la forme infantile de la maladie de Pompe traités antérieurement par α-glucosidase alpha ont montré une amélioration ou une stabilisation après six mois de traitement pour ce qui est de l'efficacité (objectif secondaire de l'étude), mesurée par le test de fonction motrice globale (GMFM-88), le test rapide de la fonction motrice (QMFT), l'évaluation du handicap (Pompe-PEDI), le score Z de la masse ventriculaire gauche (MVG) et les mouvements des

paupières chez les patients précédemment en déclin ou insuffisamment contrôlés par l'alpha-glucosidase.

Selon les résultats des données de sécurité groupées de quatre études cliniques, les réactions indésirables graves observées chez les patients traités par Nexviadyme ont été les suivantes : frissons (1,4 %), maux de tête, dyspnée, détresse respiratoire, nausées, décoloration de la peau, douleur thoracique, pyrexie, élévation de la pression artérielle, élévation de la température corporelle, accélération de la fréquence cardiaque et diminution de la saturation en oxygène (0,7 % dans chaque cas). De plus, des réactions d'hypersensibilité (43,5 %), des réactions anaphylactiques (1,4 %) et des réactions à la perfusion (26,1 %) ont également été rapportées. Les réactions indésirables les plus fréquemment rapportées (>5 %) ont été les suivantes : prurit (9,4 %), éruptions cutanées (8 %), maux de tête (7,2 %), urticaire (6,5 %), fatigue (6,5 %), nausées (5,8 %) et frissons (5,1 %).

Un mécanisme d'action conçu pour améliorer la capture

Chez les personnes atteintes de la maladie de Pompe, le déficit en enzyme lysosomale alpha-glucosidase acide (GAA) aboutit à l'accumulation de glycogène dans les cellules entraînant des dommages irréversibles dans les muscles squelettiques et le muscle cardiaque. Nexviadyme est conçu spécialement pour cibler le récepteur mannose-6-phosphate (M6P), principale voie de la capture cellulaire de l'enzymothérapie substitutive et de son transport dans le lysosome. Nexviadyme contient environ 15 fois plus de M6P de manière à améliorer la capture de l'enzyme de substitution et l'élimination des dépôts de glycogène dans les tissus cibles, comparativement à l'alpha-glucosidase alpha – le seul autre traitement disponible pour la maladie de Pompe et l'agent comparateur utilisé dans l'étude pivot COMET de phase III.

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

Kate Conway | + 1 508 364 4931 | kate.conway@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

Priya Nanduri | +1 617 764 6418 | priya.nanduri@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 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 que le COVID-19 aura sur Sanofi, ses clients, fournisseurs et partenaires et leur situation financière, ainsi que sur ses employés et sur l'économie mondiale. Tout impact significatif sur ces derniers pourrait négativement impacter Sanofi. La situation évolue rapidement et d'autres conséquences que nous ignorons pourraient apparaître et exacerber les risques précédemment identifiés. 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 2021 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 2021 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.