

La FDA accorde la désignation de « Traitement innovant » à l'efanesoctocog alpha pour le traitement de l'hémophilie A

- L'efanesoctocog alpha est le premier facteur VIII de remplacement auquel la FDA décerne la désignation de « Traitement innovant » (*Breakthrough Therapy*).
- Cette désignation est fondée sur les données de l'étude XTEND-1 de phase III ayant permis de prévenir les saignements de manière cliniquement significative et de démontrer la supériorité de l'efanesoctocog alpha sur une prophylaxie antérieure par facteur de remplacement en termes de prévention du risque de saignement.
- L'efanesoctocog alpha est un nouveau facteur VIII de remplacement expérimental conçu pour obtenir une activité du facteur pratiquement normale pendant la quasi-totalité de la semaine, à raison d'une seule dose prophylactique hebdomadaire.

Paris et Stockholm – Le 1^{er} juin 2022 – La Food and Drug Administration (FDA) des États-Unis a accordé la désignation de « Traitement innovant » (*Breakthrough Therapy*) à l'efanesoctocog alpha (BIVV001) pour le traitement de l'hémophilie A, un trouble de la coagulation rare et dangereux pour la vie. Cette désignation est fondée sur les données de l'étude pivot [XTEND-1 de phase III](#). Sanofi et Sobi® collaborent au développement et à la commercialisation de l'efanesoctocog alpha.

La désignation de « Traitement innovant » vise à accélérer le développement et l'évaluation réglementaire, aux États-Unis, de médicaments destinés à traiter des maladies graves ou engageant le pronostic vital. Cette désignation nécessite d'apporter des données cliniques préliminaires attestant de l'amélioration notable de critères d'évaluation cliniques significatifs par rapport aux traitements existants.

Dr John Reed, Ph.D.

Responsable Monde, Recherche et Développement, Sanofi

« La désignation de "Traitement innovant" souligne que l'efanesoctocog alpha a le potentiel de transformer le traitement des personnes atteintes d'hémophilie A en les protégeant mieux et plus longtemps. Cette nouvelle classe potentielle de facteur VIII de remplacement est emblématique des initiatives audacieuses que nous menons pour faire avancer la science et répondre aux besoins non pourvus des membres de la communauté de l'hémophilie. Nous sommes très heureux de collaborer avec les autorités réglementaires pendant la soumission et l'examen de ce traitement innovant. »

Dr Anders Ullman, Ph.D.

Responsable, Recherche et Développement et Chief Medical Officer, Sobi

« Cette désignation témoigne du caractère innovant de l'efanesoctocog alpha et de sa capacité à répondre à un besoin médical non pourvu pour les personnes atteintes d'hémophilie A. Nous sommes déterminés à transformer la vie des personnes atteintes de maladies rares et ce médicament témoigne des innovations médicales que la science permet de matérialiser. »

Les premiers résultats de l'étude pivot XTEND-1 de phase III montrent que l'efanesoctocog alpha a atteint son critère d'évaluation primaire et qu'un traitement prophylactique hebdomadaire par efanesoctocog alpha pendant 52 semaines permet de prévenir de manière cliniquement significative les saignements chez les patients présentant une hémophilie A sévère. Il importe de noter que le principal critère d'évaluation secondaire a également été atteint et a démontré la supériorité de l'efanesoctocog alpha sur un traitement substitutif antérieur par facteur VIII en termes de prévention des épisodes hémorragiques, sur la base d'une comparaison entre patients. L'efanesoctocog alpha a été bien toléré et aucun inhibiteur anti-facteur VIII n'a été détecté chez les participants à l'étude. Les événements indésirables liés au traitement les plus fréquents (>5% des participants globalement) ont été les maux de tête, l'arthralgie, les chutes et les douleurs dorsales.

Les données de l'étude XTEND-1 de phase III devraient être présentées dans le cadre d'un prochain congrès médical et formeront la base de la soumission qui sera déposée auprès de la FDA dans le courant du deuxième semestre de 2022. L'éfanesoctocog alpha a obtenu la désignation de médicament orphelin de la Food and Drug Administration (FDA) des États-Unis en août 2017 et celle-ci lui a accordé un [examen prioritaire](#) en février 2021. La Commission européenne lui a également accordé le statut de médicament orphelin en juin 2019. La soumission réglementaire dans l'UE aura lieu lorsque les données de l'étude XTEND-Kids, menée chez l'enfant, seront disponibles. Celles-ci sont attendues en 2023.

Un garçon sur 5 000 naissances de sexe masculin naît atteint d'hémophilie A chaque année. Cette maladie survient plus rarement chez les filles. Il s'agit d'une maladie qui dure toute la vie et se traduit par l'incapacité du sang à coaguler correctement en raison d'un déficit en facteur de coagulation. Les personnes hémophiles peuvent présenter des épisodes de saignements causant des douleurs, des lésions articulaires irréversibles et des hémorragies pouvant engager le pronostic vital. Les besoins médicaux non pourvus des personnes atteintes d'hémophilie en termes de protection, d'allègement de la charge du traitement et d'amélioration de la qualité de vie, restent importants.

À propos de l'éfanesoctocog alpha (BIVVooi)

L'éfanesoctocog alpha est un nouveau facteur VIII recombinant expérimental conçu pour prolonger la protection contre les saignements à raison d'une dose prophylactique par semaine, pour les personnes atteintes d'hémophilie A. Il 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. Il s'agit du premier facteur VIII de remplacement expérimental ayant montré qu'il pouvait surmonter l'effet-plafond du facteur von Willebrand, qui limite la demi-vie des facteurs VIII de remplacement actuellement disponibles. L'éfanesoctocog alpha fait actuellement l'objet d'études cliniques et aucun organisme de réglementation n'a encore évalué ses profils de sécurité et d'efficacité.

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®, ainsi que sur le développement et la commercialisation de l'éfanesoctocog alpha, un facteur VIII expérimental qui pourrait permettre d'obtenir une activité du facteur soutenue et pratiquement normale avec une seule dose prophylactique hebdomadaire pour les personnes atteintes d'hémophilie A. 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. 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 et en Asie. En 2021, Sobi a réalisé un chiffre d'affaires de 15,5 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.

Contacts Sanofi :

Relations médias

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

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

Contacts Sobi :

Relations médias

Pour les contacts médias de Sobi, cliquer [ici](#).

Relations investisseurs

Pour contacter l'équipe Relations avec les investisseurs de Sobi, cliquer [ici](#).

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 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.