

Journée virtuelle dédiée à la R&D de Sanofi : présentation des capacités et plateformes technologiques ainsi que l'expertise dans les voies de signalisation des maladies, pour le développement de médicaments ayant le potentiel de transformer la prise en charge des patients

- * Une stratégie de R&D au service du portefeuille de développement, de la productivité et de l'innovation
- * Progrès significatifs opérés depuis décembre 2019 dans l'exécution des programmes prioritaires ayant le potentiel de transformer la prise en charge des patients
- * Le premier patient atteint de sclérose en plaques a été inclus dans le programme de phase III consacré à l'inhibiteur BTK '168 à pénétration cérébrale
- * Données positives sur les biomarqueurs pour la première étude chez l'homme de l'IL-2 « non alpha » THOR-707
- * Développement accéléré d'un vaccin à base de protéine recombinante contre le Covid-19, avec une approbation potentielle au premier semestre de 2021
- * Journée virtuelle consacrée à la R&D pour la communauté des investisseurs, aujourd'hui, de 15 h 00 à 17 h 30 CET / 9 h 00 à 11h 30 ET

PARIS – Le 23 juin 2020 – Paul Hudson, Directeur Général de Sanofi, le docteur John Reed, Ph.D., Responsable Monde de la Recherche et Développement et plusieurs membres de la direction des équipes de R&D et des Opérations commerciales de l'entreprise feront un point d'actualité sur l'approche de Sanofi pour développer des médicaments ayant le potentiel de transformer la vie des patients, et pour les mettre à leur disposition.

Cet événement est le quatrième volet d'un cycle de cinq sessions que Sanofi dédie à son innovation. Les trois premières ont été consacrées respectivement aux résultats de phase II de son inhibiteur BTK ('168) à pénétration cérébrale, à l'évolution de son portefeuille de développement en oncologie et aux futures opportunités de croissance de Dupixent® (dupilumab)¹.

¹ En partenariat avec Regeneron.

« Depuis décembre dernier, nous avons réalisé d'immenses progrès, bâti un portefeuille de traitements ayant le potentiel de transformer la prise en charge des patients et mis en œuvre une stratégie unique et évolutive – autant d'initiatives qui donneront à Sanofi les moyens de réaliser ses objectifs et de proposer aux patients des médicaments et des vaccins qui transformeront l'exercice de la pratique médicale », a déclaré Paul Hudson, Directeur Général de Sanofi. « Bien que nous ayons considérablement intensifié les activités de six programmes de développement identifiés comme prioritaires, l'élan que nous observons aujourd'hui irrigue l'intégralité de notre portefeuille de développement. Ce dynamisme est largement dû à la manière dont nous tirons parti de nos plateformes technologiques innovantes et aux connaissances approfondies que nous avons acquises sur les besoins des patients et les voies de signalisation des maladies. »

Sanofi transforme sa R&D pour stimuler sa productivité

La transformation de l'organisation de R&D de Sanofi obéit aux principes fondateurs de la stratégie que l'entreprise a présentée en décembre dernier à l'occasion du *Capital Markets Day*.

- **Se concentrer sur les priorités** en allouant les ressources de la R&D aux médicaments en développement ayant le potentiel d'être soit les premiers, soit les meilleurs de leur classe pharmacothérapeutique. Aujourd'hui, 75 % des actifs en développement de Sanofi présentent ce potentiel.
- **Accélérer l'innovation** – L'éventail unique de technologies dont dispose Sanofi en interne, telles que les plateformes Nanobody®, pour la production d'anticorps multi-spécifiques, et Synthorin, offre des capacités de recherche et développement de médicaments de pointe et novateurs. Environ 65 % des candidats-médicaments actuellement en développement sont issus des laboratoires de recherche de Sanofi, comme son dérégulateur sélectif expérimental des récepteurs des œstrogènes (SERD '859) et son conjugué anticorps-médicament expérimental anti-CEACAM5 ('701).
- **Accroître l'efficacité opérationnelle** par l'amélioration systématique des opérations cliniques et l'intégration de données digitales et de vie réelle, de sorte que Sanofi puisse intensifier le rythme d'exécution de ses activités. En témoignent les essais de phase I et II consacrés à l'inhibiteur expérimental BTK'168 à pénétration cérébrale, dont la rapidité d'exécution dépasse d'un an la moyenne du secteur pharmaceutique. Sanofi a annoncé aujourd'hui que le premier patient venait d'être inclus dans le programme de phase III de ce médicament, en dépit des difficultés que soulève la pandémie Covid-19.
- **Repenser les manières de travailler de la R&D** en simplifiant sensiblement les méthodes de travail de l'organisation. Cette simplification passe par la mise en place d'une organisation Développement intégrée, la rationalisation de la gouvernance et une plus grande autonomie des équipes, ce qui a permis de lancer rapidement un certain nombre d'essais cliniques, notamment ceux consacrés à

l'évaluation de Kevzara® (sarilumab)² comme solution thérapeutique potentielle contre le Covid-19.

« Nous présentons aujourd'hui les atouts uniques de la R&D de Sanofi et les progrès extrêmement encourageants que nos équipes très motivées de chercheurs et de médecins, ont réalisés ces six derniers mois dans des conditions souvent très difficiles », a précisé le docteur John Reed, Ph.D., Responsable Monde de la Recherche et Développement de Sanofi. « Nous avons mis en place des capacités de premier ordre – dont un large éventail de plateformes technologiques pour le développement de médicaments – permettant de développer des molécules qui seront autant de moyens nouveaux et potentiellement meilleurs de lutter contre les maladies, tout en nous attachant à accélérer le rythme d'exécution de nos projets grâce à une organisation plus agile. »

Plateforme Synthorin, un outil supplémentaire pour Sanofi

La plateforme Synthorin, qui fait appel à une technique innovante de biologie de synthèse, est une plateforme unique qui permet d'étendre l'alphabet génétique grâce à la création d'une nouvelle paire de bases ADN. L'ajout de cette nouvelle paire de bases aux deux paires de bases naturelles de l'ADN permet de coder un plus grand nombre d'acides aminés (jusqu'à 176, contre 20 acides aminés naturels), augmente sensiblement la diversité des protéines et donne aux chercheurs les moyens potentiels de développer et produire une nouvelle génération de médicaments de précision pour le traitement du cancer et des maladies auto-immunes.

L'un des principaux candidats-médicaments expérimentaux issus de cette plateforme, THOR-707, une variante « non alpha » de l'interleukine 2, est en développement clinique pour le traitement de plusieurs types de tumeurs solides, en monothérapie et en association avec des inhibiteurs de checkpoint immunitaire. Les données précoces sur les biomarqueurs d'une étude de phase I de THOR-707 ont montré que cette molécule augmente le nombre de lymphocytes CD8+ T et *Natural Killer*, sans augmenter significativement les concentrations de lymphocytes T régulateurs et d'éosinophiles. Sanofi attend, d'ici à 2021, les résultats complets de phase I et les recommandations sur la dose à administrer dans le cadre des études de phase II. D'autres interleukines de précision passeront au stade clinique entre 2021 et 2023.

Venglustat prend appui sur la longue expérience des maladies rares de Sanofi, combinée à une connaissance approfondie des voies de signalisation des maladies

Venglustat est un inhibiteur expérimental de la glucosylcéramide synthase par voie orale en développement pour le traitement de plusieurs maladies monogénétiques, comme la maladie de Gaucher de type 3, la maladie de Fabry et les gangliosidoses à GM2, mais aussi pour le traitement de troubles plus monogénétiques comme la polykystose rénale autosomique dominante et la maladie de Parkinson exprimant des mutations du gène

² En partenariat avec Regeneron.

GBA, en exploitant les motifs conservés de séquences présentes dans les maladies mettant en cause les glycosphingolipides.

Dans les maladies rares :

- Une étude de phase II/III dans le traitement de la maladie de Gaucher est en cours.
- Un essai de phase III dans le traitement de la maladie de Tay-Sachs, une gangliosidose à GM2, a été lancé au début de l'année.
- Un essai de phase III dans le traitement de la maladie de Fabry devrait être lancé en 2021.

Des demandes d'approbation dans ces trois indications pourraient être soumises aux autorités réglementaires courant 2023, si les données de ces essais sont positives.

Au-delà des maladies rares :

- Les données de preuve de concept dans le traitement de la maladie de Parkinson exprimant des mutations du gène GBA sont attendues au premier semestre de 2021.
- Les résultats des études pivots dans le traitement de la polykystose rénale autosomique dominante sont attendus au 4^{ème} trimestre de 2021. S'ils sont positifs, les demandes d'approbation réglementaire pourraient débiter au début de 2022.

Fitusiran et BIVV001 : de nouvelles modalités et une technique d'ingénierie des protéines pour le développement potentiel de nouvelles solutions thérapeutiques différenciées pour les patients hémophiles

Fitusiran est un agent thérapeutique expérimental ARNi – potentiellement le meilleur de sa classe pharmacothérapeutique –, pour le traitement des hémophilies A et B (avec ou sans inhibiteurs) visant à rééquilibrer la cascade de coagulation tout en réduisant significativement les contraintes liées au traitement car il sera possible de l'administrer une seule fois par mois par voie sous-cutanée. Le fitusiran pourrait aussi être le premier médicament pour le traitement de l'hémophilie n'ayant pas besoin d'être réfrigéré. Les données positives d'une analyse intermédiaire des résultats d'une étude de prolongation de phase II menée chez des patients atteints d'hémophilie A ou B, avec ou sans inhibiteurs, ont été [récemment présentées](#) au Sommet virtuel de la Fédération mondiale de l'hémophilie. Le recrutement des patients dans deux des trois études de phase III est terminé et sur le point de l'être pour la troisième. L'étude pédiatrique de phase III est en phase de recrutement. Si les données sont positives, une soumission réglementaire chez l'adulte et l'adolescent est prévue au deuxième semestre de 2021.

BIVV001³ est une nouvelle classe potentielle de facteur VIII pour le traitement de l'hémophilie A conçu pour prolonger la protection contre les saignements grâce à des concentrations élevées de facteur, à raison d'une dose prophylactique hebdomadaire. Les résultats positifs d'une étude à doses répétées de phase I ont été récemment présentés

³ BIVV001 est développé en collaboration avec Sobi.

au Sommet virtuel de la Fédération mondiale de l'hémophilie. Une étude de phase III menée chez des patients atteints d'hémophilie A ayant déjà été traités a débuté l'an dernier. Si ses résultats sont positifs, des demandes d'approbation pourraient être soumises aux autorités réglementaires dans le courant du premier semestre de 2022.

En première ligne dans la lutte contre le Covid-19

Depuis le début de la pandémie, Sanofi joue un rôle de premier plan dans la lutte contre le Covid-19. En collaboration avec les autorités de santé et des partenaires internationaux, Sanofi est l'une des seules entreprises au monde à travailler à la recherche de candidats-vaccins contre le Covid-19 en explorant deux approches technologiques complémentaires. Cette stratégie augmente la probabilité globale de succès et renforce les capacités de Sanofi en cas de futures pandémies.

- **Une technologie de l'ADN recombinant (au moyen de baculovirus) pour le développement d'un vaccin**, en collaboration avec GSK. Le candidat-vaccin recombinant fait appel à la même technologie et aux capacités de production établies de la plateforme d'expression de baculovirus recombinants utilisée pour la production du vaccin antigrippal homologué Flublok® de Sanofi ; GSK fournira pour sa part son adjuvant AS03.

Sanofi prévoit de débiter un essai de phase I/II en septembre et d'obtenir l'approbation de son vaccin d'ici au premier semestre de 2021. Sanofi dispose des capacités nécessaires pour produire jusqu'à un milliard de doses par an.

- **Une technologie de l'ARN messenger (ARMm) pour la production d'un candidat-vaccin**, en collaboration avec Translate Bio. Avec diverses plateformes de développement de vaccins actuellement explorées par le secteur pharmaceutique, celle de l'ARNm est considérée comme l'une des plus prometteuses.

Sanofi prévoit de débiter une étude de phase I d'ici à la fin de l'année et, si les données sont positives, d'obtenir l'approbation de ce vaccin au deuxième semestre de 2021. Translate Bio a mis en place les capacités de production fondées sur la technologie de l'ARNm et Sanofi estime pouvoir être en mesure d'assurer une production comprise entre 90 et 360 millions de doses par an.

La session dédiée à la R&D de Sanofi à l'attention des investisseurs aura lieu aujourd'hui de **15 h 00 à 17 h 30 CET / 9 h 00 à 11 h 30 ET**. L'organisation en mode virtuel de cette journée permettra à ses participants de faire connaissance avec un plus grand nombre de dirigeants et scientifiques de premier ordre de Sanofi, en particulier :

- Paul Hudson, Directeur Général
- John Reed, M.D. Ph.D., Responsable Monde, Recherche et Développement
- Yong-Jun Liu, Responsable Monde, Recherche

- Marcos Milla, Directeur scientifique, Synthorx
- Karin Knobe, Responsable, Développement - Aire thérapeutique Maladies rares et Maladies hématologiques rares
- Pablo Sardi, Responsable, Recherche- Aire thérapeutique Maladies rares
- Vanessa Wolfeler, Responsable Monde, Franchise Maladies hématologiques rares
- Dietmar Berger, Responsable Monde, Développement et Chief Medical Officer
- John Shiver, Responsable Monde, Recherche et Développement, Sanofi Pasteur

L'entreprise prévoit de tenir la dernière session de ce cycle à une date ultérieure. Celle-ci sera dédiée au nirsevimab, un anticorps monoclonal qui pourrait potentiellement offrir une solution en population générale pour la prévention de l'infection par le virus respiratoire syncytial (VRS) chez tous les nourrissons.

Des informations supplémentaires sur la session d'aujourd'hui sont disponibles à l'adresse suivante : <https://www.sanofi.com/en/investors/financial-results-and-events/investor-presentations/2020-rd-presentation>

À propos de Sanofi

La vocation de Sanofi est d'accompagner celles et ceux confrontés à des difficultés de santé. Entreprise biopharmaceutique mondiale spécialisée dans la santé humaine, nous prévenons les maladies avec nos vaccins et proposons des traitements innovants. Nous accompagnons tant ceux qui sont atteints de maladies rares, que les millions de personnes souffrant d'une maladie chronique.

Sanofi et ses plus de 100 000 collaborateurs dans 100 pays transforment l'innovation scientifique en solutions de santé partout dans le monde.

Sanofi, Empowering Life, donner toute sa force à la vie.

Relations Médias

Ashleigh Koss
Tél.: +1 (908) 205 2572
Ashleigh.Koss@sanofi.com

Quentin Vivant
Tél.: +33 (0)1 53 77 46 46
mr@sanofi.com

Relations Investisseurs

Felix Lauscher
Tél.: +33 (0)1 53 77 45 45
ir@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 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 2019 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 2019 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.