

Le riliprubart obtient la désignation de médicament orphelin au Japon pour la polyneuropathie inflammatoire démyélinisante chronique

- Deux études de phase 3 sont actuellement en cours pour tester le riliprubart chez les personnes atteintes de PIDC comme traitement potentiel meilleur de sa catégorie
- La décision du ministère de la Santé, du Travail et des Affaires sociales du Japon s'ajoute aux désignations similaires aux États-Unis et en Europe. Elle souligne la reconnaissance réglementaire mondiale de la capacité du riliprubart à répondre à d'importants besoins médicaux non satisfaits pour les personnes vivant avec cette maladie neurologique rare.

Paris, le 30 juin 2025. Au Japon, le ministère de la Santé, du Travail et du Bien-être a accordé la désignation de médicament orphelin au riliprubart, un anticorps monoclonal qui inhibe sélectivement les C1 activées dans la voie classique du complément chez les personnes atteintes de polyneuropathie inflammatoire chronique démyélinisante (PIDC). Malgré les traitements disponibles, de nombreux patients atteints de PIDC présentent des symptômes résiduels, notamment une faiblesse, un engourdissement et une fatigue qui peuvent entraîner une morbidité à long terme et une diminution de la qualité de vie. Environ 30 % des personnes atteintes de PIDC ne répondent pas aux traitements standards. Le ministère de la Santé japonais accorde la désignation de médicament orphelin aux médicaments qui traitent des maladies ou affections médicales rares et dont les besoins médicaux ne sont pas satisfaits. À ce jour, environ 4 000 personnes ont été diagnostiquées comme atteintes de PIDC au Japon.

Dr Erik Wallstroem, PhD

Directeur mondial du développement en neurologie, Sanofi

« La désignation de riliprubart comme médicament orphelin pour les personnes vivant avec la PIDC au Japon souligne notre engagement à tirer parti de notre compréhension approfondie du système immunitaire pour traiter les troubles neurologiques rares dont les besoins médicaux restent largement non satisfaits. Bien qu'il existe des traitements pour la PIDC, de nombreuses personnes continuent à présenter des symptômes débilitants, notamment des douleurs, de la fatigue et une certaine faiblesse. Le développement continu de riliprubart reflète notre détermination à remettre en question le statu quo en neurologie dans le but d'améliorer la vie des gens. »

Les données d'efficacité et de sécurité d'emploi durables, à long terme sur 76 semaines issues de l'étude de phase 2 de riliprubart ont été présentées lors du congrès de la [Peripheral Nerve Society](#) à Édimbourg, au Royaume-Uni, du 17 au 20 mai 2025. Les résultats suggèrent que le riliprubart peut avoir un bénéfice durable à long terme sur un large éventail de participants atteints de PIDC. Le riliprubart est actuellement testé dans deux études de phase 3 distinctes : MOBILIZE, chez des patients réfractaires au traitement standard (identifiant de l'étude clinique : [NCT06290128](#)) et VITALISER, chez des patients traités par IgIV (identifiant de l'étude clinique : [NCT06290141](#)).

À propos du riliprubart

Le SAR445088 (riliprubart) est un anticorps monoclonal humanisé IgG4 qui inhibe sélectivement les C1 activées dans la voie classique du complément du système immunitaire inné. En bloquant les C1, le riliprubart a le potentiel d'inhiber les mécanismes inflammatoires clés qui entraînent la démyélinisation et les lésions axonales dans la PIDC. Le riliprubart est actuellement en cours d'investigation clinique ; ses profils de sécurité et d'efficacité n'ont été évalués par aucune autorité réglementaire. Pour plus d'informations sur les études cliniques du riliprubart, veuillez consulter www.clinicaltrials.gov.

À propos de la PIDC

La PIDC est une affection neurologique rare qui provoque une faiblesse progressive et une déficience sensorielle dans les bras et les jambes. La PIDC survient lorsque le système immunitaire de l'organisme attaque les gaines de myéline qui entourent des cellules nerveuses dans le système nerveux périphérique. Il est important de diagnostiquer la PIDC en temps opportun, car cela permet un traitement approprié, qui est essentiel pour prévenir l'invalidité à long terme. Toutefois, malgré les traitements disponibles, de nombreuses personnes présentent des symptômes résiduels, notamment une faiblesse, un engourdissement et une fatigue qui peuvent entraîner une morbidité à long terme et une diminution de la qualité de vie. Environ 30 % des personnes atteintes de PIDC ne répondent pas aux traitements standards. Chez les personnes atteintes de PIDC qui répondent au traitement, environ 70 % de la réponse est considérée comme incomplète. Moins d'un tiers des personnes atteintes de PIDC restent en rémission sans poursuivre le traitement.

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 créer de la 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 en aider des millions d'autres. Animées par une mission commune — 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 | +33 6 70 93 71 40 | 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

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

Felix Lauscher | +1 908 612 7239 | felix.lauscher@sanofi.com

Keita Browne | +1 781 249 1766 | keita.browne@sanofi.com

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

Tarik Elgoutni | +1 617 710 3587 | tarik.elgoutni@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 de 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. 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 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'AMF et de la SEC, y compris ceux énumérés dans les rubriques « Facteurs de risque » et « Déclarations prospectives » du Document d'enregistrement universel 2024 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 2024 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.

Toutes les marques citées dans le présent communiqué de presse sont la propriété du groupe Sanofi.