

La FDA accorde un examen prioritaire à l'efanesoctocog alpha pour le traitement de l'hémophilie A

- La décision de la FDA concernant l'efanesoctocog alpha, un facteur VIII de remplacement expérimental, est attendue le 28 février 2023.
- Examen prioritaire fondé sur les données pivots de l'étude de phase III XTEND-1.
- L'efanesoctocog alpha a la capacité de maintenir les concentrations de facteur à des niveaux normaux ou quasi-normaux pendant presque toute la semaine à raison d'une dose prophylactique par semaine et de conférer une protection plus longue.

Paris et Stockholm – Le 30 août 2022 – La Food and Drug Administration (FDA) des États-Unis a accepté d'accorder un examen prioritaire à la demande de licence de produit biologique (*Biologics License Application*, BLA) relative à l'efanesoctocog alpha (BIVV001) pour le traitement de l'hémophilie A, un trouble de la coagulation rare et dangereux pour la vie. La décision de la FDA devrait intervenir le 28 février 2023. Sanofi et Sobi® collaborent au développement et à la commercialisation de l'efanesoctocog alpha.

Dr Steve Pipe

Professeur et Directeur du Programme pédiatrique d'hémophilie et de troubles de la coagulation, Université du Michigan

« Les traitements par facteur restent la pierre angulaire du traitement de l'hémophilie, mais des innovations s'imposent dans ce domaine pour remédier aux difficultés que soulèvent la protection contre les saignements et la lourdeur des traitements. S'il est approuvé, l'efanesoctocog alpha pourra permettre d'obtenir une activité pratiquement normale du facteur pendant presque toute la semaine, ce qui confèrera potentiellement un nouveau niveau de protection. Ces bénéfices thérapeutiques pourraient représenter des progrès importants pour les personnes atteintes d'hémophilie A et potentiellement transformer le traitement prophylactique de cette maladie. »

La demande de licence de produit biologique prend appui sur les données de l'étude pivot de phase III XTEND-1. Les résultats de cette étude ont été récemment [présentés](#) au 30^e Congrès de la Société internationale de thrombose et d'hémostase. Sur la base d'une comparaison entre les patients, ces données ont montré que l'efanesoctocog alpha permet de prévenir les saignements de manière cliniquement significative et qu'il est supérieur à un traitement antérieur par facteur. L'efanesoctocog alpha a été bien toléré et aucun inhibiteur du facteur VIII n'a été détecté. 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 dorsalgies.

Dr Dietmar Berger, Ph.D.

Responsable Monde, Développement et Chief Medical Officer, Sanofi

« Les résultats de l'étude pivot XTEND-1 de phase III ont démontré que l'efanesoctocog alpha a la capacité de réduire les taux de saignements annualisés et qu'il a le potentiel de devenir le meilleur traitement de sa catégorie en termes d'efficacité. Nous sommes impatients de travailler en étroite collaboration avec la FDA tout au long de ce processus d'évaluation pour pouvoir mettre ce médicament à la disposition des patients souffrant d'hémophilie A. »

La FDA accorde un examen prioritaire aux médicaments qui ont le potentiel d'apporter des améliorations significatives au traitement, au diagnostic ou à la prévention de maladies graves. L'efanesoctocog alpha a obtenu la [désignation de médicament innovant \(Breakthrough Therapy\)](#) de la FDA en mai 2022 et il est le premier facteur VIII de remplacement à obtenir cette désignation. La FDA lui a également accordé la désignation de médicament orphelin en août 2017 et une [évaluation accélérée](#) en février 2021.

Dans l'Union européenne, la soumission réglementaire interviendra lorsque les données de l'étude en cours XTEND-Kids chez l'enfant seront disponibles, ce qui est prévu dans les deux cas en 2023. La Commission européenne a accordé la désignation de « Médicament orphelin » à l'efanesoctocog alpha en juin 2019.

À propos de l'étude XTEND-1 de phase III (NCT04161495)

L'étude XTEND-1 de phase III (NCT04161495) était une étude interventionnelle en ouvert, non randomisée, ayant pour but d'évaluer la sécurité, l'efficacité et la pharmacocinétique de l'efanesoctocog alpha chez des personnes de plus de 12 ans (n=159) atteintes d'hémophilie A sévère, ayant déjà reçu un traitement par facteur VIII de remplacement. L'étude comportait deux groupes de traitement parallèles : un groupe de traitement prophylactique (groupe A, n=133) dans le cadre duquel les participants ayant déjà bénéficié d'une prophylaxie par facteur VIII ont commencé à recevoir une dose prophylactique hebdomadaire de 50 UI/kg de d'efanesoctocog alpha pendant 52 semaines et un groupe de traitement épisodique ou « à la demande » (groupe B, n=26), dans le cadre duquel les participants ont reçu une dose de 50 IU/kg à la demande pendant 26 semaines, avant de passer à un traitement prophylactique hebdomadaire pendant 26 autres semaines.

Le critère d'évaluation primaire était le taux de saignements annualisé (TSA) dans le groupe A et le principal critère d'évaluation secondaire, la comparaison entre patients du TSA pendant le traitement prophylactique hebdomadaire par efanesoctocog alpha, comparativement au TSA avec le traitement prophylactique antérieur, parmi les participants du groupe A ayant pris part à l'étude observationnelle antérieure (étude 242HA201/OBS16221).

À propos de l'hémophilie A

L'hémophilie A est un trouble hémorragique héréditaire rare qui se traduit par l'incapacité du sang à coaguler correctement en raison d'un déficit en facteur VIII. Chaque année, un garçon sur 5 000 naissances de sexe masculin naît atteint d'hémophilie A. Cette maladie survient plus rarement chez les filles. Les personnes hémophiles peuvent présenter des épisodes de saignements causant des douleurs, des lésions articulaires irréversibles et des hémorragies pouvant engager le pronostic vital. Le traitement par facteur de remplacement reste la pierre angulaire de la prise en charge de cette maladie et peut être employé dans différents contextes thérapeutiques.

À propos de l'efanesoctocog alpha (BIVV001)

L'efanesoctocog alpha est un nouveau facteur VIII recombinant expérimental conçu pour prolonger la protection contre les saignements à raison d'une dose prophylactique par semaine, chez 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'efanesoctocog 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'efanesoctocog alpha, un facteur VIII expérimental qui pourrait permettre d'obtenir une activité du facteur soutenue et pratiquement normale à raison d'une seule dose prophylactique par semaine, chez 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 généré 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.

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

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

Sobi :

Relations médias

Pour les coordonnées de l'équipe Relations médias de Sobi, cliquer [ici](#).

Relations investisseurs

Pour les coordonnées de l'équipe Relations 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.