



Sanofi et MyoKardia annoncent une collaboration novatrice pour développer des thérapies ciblées destinées aux patients atteints de maladies cardiaques génétiques

- Un partenariat pouvant aller jusqu'à 200 millions de dollars pour des recherches de pointe et de nouveaux traitements -

Paris et San Francisco Sud (Californie) - Le 17 septembre 2014 - Sanofi (EURONEXT : SAN et NYSE : SNY) et [MyoKardia, Inc.](#), une société privée spécialisée dans le développement de thérapies ciblées pour les maladies cardiaques génétiques, annoncent aujourd'hui la signature d'une collaboration mondiale axée sur la découverte et le développement de thérapies ciblées uniques pour les maladies cardiaques génétiques, ou cardiomyopathies, les formes les plus fréquentes de maladies du muscle cardiaque. Cette collaboration s'appuie sur l'apport scientifique de pointe de MyoKardia, lequel vise à corriger les effets perturbateurs que les mutations génétiques peuvent avoir sur la contraction du muscle cardiaque.

Le partenariat, qui représente l'un des plus importants engagements en recherche et développement dans le domaine des cardiomyopathies d'origine génétique, concerne trois programmes de MyoKardia. Deux d'entre eux sont axés sur la cardiomyopathie hypertrophique (CMH) et le troisième sur la cardiomyopathie dilatée (CMD). Cette collaboration est dotée d'un budget pouvant aller jusqu'à 200 millions de dollars jusqu'en 2018, en apport en fonds propres, paiements d'étapes et services de recherche et développement. Sur cette somme, 45 millions de dollars ont déjà été versés en un paiement initial de droits de licences et un premier investissement en fonds propres. Sanofi et MyoKardia partageront à parts égales les coûts de développement applicables aux programmes dans la CMH à la suite de la première démonstration d'efficacité chez les patients, tandis que Sanofi prendra entièrement à sa charge les coûts de développement du programme dans la CMD.

La collaboration participe de l'initiative Sunrise de Sanofi, un modèle de partenariat stratégique qui cherche à investir dans des projets au stade précoce cadrant avec les capacités de développement et de commercialisation de Sanofi. Les ressources que Sanofi y engagera permettront d'accélérer et d'élargir les recherches fondamentales de MyoKardia et renforceront les initiatives de nature à répondre à des besoins médicaux importants pour les patients.

« Ce partenariat illustre la philosophie de Sanofi en matière de recherche et développement pour les projets Sunrise. Il associe de manière significative l'expertise unique de nos meilleurs scientifiques dans le domaine des maladies rares et cardiovasculaires avec celle des meilleurs innovateurs du monde, comme les fondateurs et scientifiques de MyoKardia, ceci afin de réaliser de réelles percées médicales », a indiqué le Dr Elias Zerhouni, Président Monde R&D de Sanofi.

« Les recherches que mène MyoKardia sont synonymes d'espoir et devraient permettre de développer des traitements qui ciblent la cause primaire de la maladie de chaque patient », a expliqué Tassos Gianakakos, Directeur Général de MyoKardia. *« En définissant génétiquement la CMH et la CMD au sein de plusieurs maladies génétiques rares sous-jacentes, les thérapies candidates de MyoKardia peuvent être développées beaucoup plus efficacement que les médicaments cardiovasculaires traditionnels. Le partenariat accroît l'avantage compétitif de MyoKardia, permettant l'avancée d'un large portefeuille de traitements importants pour les patients. »*



Dans le cadre de cette collaboration, MyoKardia sera chargée des activités de recherche et de développement mondial jusqu'aux études précoces évaluant l'efficacité de ses traitements chez l'humain. MyoKardia dirigera ensuite les activités de développement mondial et les activités commerciales pour les deux programmes CMH aux États-Unis, pays dans lequel elle conserve les droits sur les produits. Sanofi dirigera pour sa part les activités de développement et les activités commerciales du programme CMD à l'échelle internationale, pour lesquelles le Groupe a obtenu les droits mondiaux, de même que les activités réglementaires et commerciales hors États-Unis des deux programmes CMH, en vertu des droits obtenus pour la commercialisation hors États-Unis. Sanofi a également la possibilité de co-promouvoir les programmes CMH aux États-Unis dans des indications cardiaques non génétiques, tandis que MyoKardia a la possibilité de co-promouvoir le programme CMD aux États-Unis.

A propos des cardiomyopathies génétiques

La cardiomyopathie hypertrophique et la cardiomyopathie dilatée sont deux maladies cardiaques génétiques causées par des mutations dans les gènes des protéines responsables de la contraction du muscle cardiaque. La cardiomyopathie hypertrophique est la principale cause de mort subite cardiaque chez les jeunes adultes, et la cardiomyopathie dilatée la principale maladie génétique nécessitant une transplantation cardiaque. On estime que près de 800 000 enfants et adultes sont porteurs d'une cardiomyopathie hypertrophique ou dilatée aux États-Unis. Les thérapies disponibles pour les patients atteints de ce type de maladies sont approuvées dans le traitement d'autres maladies et sont strictement symptomatiques. Au fur et à mesure que la maladie évolue, sa prise en charge peut nécessiter des procédures invasives comme une transplantation cardiaque. Les cardiomyopathies peuvent être à l'origine de mort subite cardiaque et de complications associées à l'insuffisance cardiaque, comme des accidents vasculaires cérébraux.

La cardiomyopathie hypertrophique (CMH) est la plus fréquente des maladies cardiaques d'origine génétique et elle affecterait une personne sur 500 dans la population générale. Elle est caractérisée par un épaissement anormal des parois du cœur, essentiellement le ventricule gauche. Les mutations à l'origine de la CMH empêchent le cœur de se dilater et de se remplir de sang frais entre les battements cardiaques, entraînant une dyspnée et parfois des vertiges, des évanouissements ou des douleurs thoraciques. Environ un quart des patients porteurs d'une cardiomyopathie hypertrophique présentent un rythme cardiaque anormal du nom de fibrillation auriculaire qui augmente considérablement le risque d'accident vasculaire cérébral invalidant, voire fatal.

La cardiomyopathie dilatée d'origine génétique concerne selon les estimations une personne sur 2 500 dans la population générale. Elle est caractérisée par une augmentation de la taille des cavités cardiaques et par une faiblesse de la contraction du muscle cardiaque entraînant une altération de la pompe cardiaque, avec un débit sanguin qui peut devenir insuffisant pour assurer les besoins de l'organisme. Cette maladie peut également entraîner la formation de caillots sanguins délétères à l'origine d'accidents vasculaires cérébraux, de troubles de la fréquence cardiaque et de mort subite cardiaque. Plus de 20 % des transplantations cardiaques réalisées chaque année concernent des patients atteints de cardiopathie dilatée d'origine génétique.

A propos de Sanofi

Sanofi, un leader mondial de la santé, recherche, développe et commercialise des solutions thérapeutiques centrées sur les besoins des patients. Sanofi possède des atouts fondamentaux dans le domaine de la santé avec sept plateformes de croissance : la prise en charge du diabète, les vaccins humains, les produits innovants, la santé grand public, les marchés émergents, la santé animale et le nouveau Genzyme. Sanofi est coté à Paris (EURONEXT : SAN) et à New York (NYSE : SNY).

Pour en savoir plus sur Sunrise, voir www.sanofi-sunrise.com



A propos de MyoKardia

MyoKardia, Inc. est une société spécialisée dans la médecine de précision pour le traitement des maladies cardiaques génétiques. Combinant les connaissances génétiques de pointe sur les maladies cardiovasculaires aux progrès récents réalisés dans le domaine de la biochimie du muscle cardiaque, MyoKardia cherche à révolutionner le traitement des maladies cardiaques génétiques pour améliorer la qualité de vie des patients. La société exploite les données versées dans un registre international de patients souffrant de maladie cardiaque génétique (le [Sarcomeric Human Cardiomyopathy Registry \(SHaRe\)](#)), qu'elle a contribué à créer, pour développer des médicaments innovants qui permettront aux médecins de traiter les patients en fonction de leur profil génétique et clinique unique. MyoKardia a été fondée en 2012 par des spécialistes des maladies cardiovasculaires, de la biologie et de la génétique du muscle cardiaque de renommée internationale. Ses activités sont financées par Third Rock Ventures. Pour plus d'informations, visiter : www.myokardia.com.

Déclarations prospectives

Ce communiqué contient des déclarations prospectives telles que définies dans le « Private Securities Litigation Reform Act » de 1995. 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, l'absence de garantie que les produits candidats s'ils sont approuvés seront un succès commercial, l'approbation future et le succès commercial d'alternatives thérapeutiques, la capacité du Groupe à saisir des opportunités de croissance externe, l'évolution des cours de change et des taux d'intérêt, l'impact de la politique de maîtrise des coûts opérationnels et leur évolution, le nombre moyens d'actions en circulation ainsi que 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 de référence 2013 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 2013 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.

Contacts Sanofi :

Relations Presse

Laurence Bollack
Tél: +33 (0) 1 53 77 46 46
E-mail: mr@sanofi.com

Relations Investisseurs

Sébastien Martel
Tél: +33 (0)1 53 77 45 45
E-mail: IR@sanofi.com

Communication R&D Monde

Amy Ba, Ph. D.
Tél: +1 617-665-4851
E-mail: amy.ba@sanofi.com

Contact MyoKardia :

Sheryl Seapy

Pure Communications
sheryl@purecommunicationsinc.com
Tél. : 949-903-4750