



Genzyme obtient un avis favorable du CHMP pour Cerdelga® (éliglustat, en gélule) en Europe

Paris - le 21 novembre 2014 - [Sanofi](#) et sa filiale [Genzyme](#) annoncent aujourd'hui que le Comité des médicaments à usage humain (CHMP, *Committee for Medicinal Products for Human Use*) de l'Agence européenne des médicaments (EMA) a rendu un avis favorable et recommandé l'approbation de Cerdelga® (éliglustat) en gélule, un traitement oral pour certains adultes atteints de la maladie de Gaucher de type 1.

La Commission européenne (CE) devrait rendre une décision définitive sur la délivrance d'une autorisation de mise sur le marché pour Cerdelga dans l'Union européenne au cours des prochains mois. Cerdelga a été approuvé par la Food and Drug Administration des États-Unis en août et il est actuellement évalué par d'autres organismes réglementaires dans le monde.

« L'avis que vient de rendre le CHMP aujourd'hui est l'étape que nous attendions pour mettre Cerdelga à la disposition des adultes éligibles atteints de la maladie de Gaucher de type 1 dans l'Union européenne », a déclaré le Dr David Meeker, Directeur Général de Genzyme. « Le traitement de référence de la maladie de Gaucher est Cerezyme® (imiglucérase injectable). La mise à disposition d'un traitement oral efficace offrirait aux patients et à leurs médecins plus de choix pour la prise en charge de cette maladie grave. »

L'avis du CHMP est fondé sur les données du programme de développement clinique de Cerdelga, le plus important jamais mené sur la maladie de Gaucher qui a recruté environ 400 patients dans 29 pays. Genzyme mène des recherches pour le développement d'un traitement oral de la maladie de Gaucher depuis 15 ans.

Les effets indésirables les plus fréquents (supérieur ou égal à 10 %) de CERDELGA sont les suivants : fatigue, céphalées, nausées, diarrhée, dorsalgie, douleurs dans les extrémités et dans la partie supérieure de l'abdomen.

A propos de la maladie de Gaucher

La maladie de Gaucher est une maladie génétique qui touche moins de 10 000 personnes dans le monde. Elle se caractérise par un déficit en glucocérébrosidase (ou beta-glucosidase), enzyme qui clive une certaine catégorie de molécules lipidiques. En conséquence, les cellules gorgées de lipides (appelées cellules de Gaucher) s'accumulent dans différentes parties du corps, principalement dans la rate, le foie et la moelle osseuse. Cette accumulation de cellules de Gaucher peut entraîner une augmentation du volume de la rate et du foie, une anémie, des saignements et des hématomes, des anomalies osseuses et un certain nombre d'autres signes et symptômes. La forme la plus courante de la maladie de Gaucher, celle de type 1, n'affecte généralement pas le cerveau.

A propos du Programme de Genzyme sur la maladie de Gaucher

Genzyme mène des recherches et développe des traitements pour les patients atteints de la maladie de Gaucher depuis plus de 20 ans afin de répondre à leurs besoins médicaux non satisfaits. Le premier médicament approuvé de Genzyme a aussi été le premier traitement de la maladie de Gaucher au monde. Quelques années plus tard, Genzyme a développé une enzymothérapie de substitution de

nouvelle génération pour la maladie de Gaucher, qui fait aujourd'hui figure de traitement de référence et est appuyé par un nombre sans équivalent de données d'efficacité et de tolérance. En 2014, Genzyme a été la première entreprise à mettre sur le marché le premier traitement oral de la maladie de Gaucher et à proposer ce faisant une nouvelle option thérapeutique aux patients. Genzyme continuera de servir la communauté des patients et de poursuivre ses efforts de développement.

A propos de Cerdelga

Cerdelga (éliglustat), nouvel analogue du glucosylcéramide administré par voie orale, a été conçu pour inhiber partiellement l'enzyme glucosylcéramide synthase, et réduire la production du glucosylcéramide, substance qui s'accumule dans les cellules et les tissus des personnes atteintes de la maladie de Gaucher. Le concept a été développé à l'origine par feu le docteur Norman Radin de l'Université du Michigan. Suite à un vaste programme couvrant la recherche préclinique et les premières phases de recherche clinique, la molécule, développée avec le docteur James A. Shayman, également de l'Université du Michigan, a montré une spécificité pour la glucosylcéramide synthase. Après un programme de recherche préclinique et clinique approfondi, Cerdelga a fait l'objet du plus vaste programme d'études cliniques de phase 3 jamais réalisé dans la maladie de Gaucher.

A propos de Genzyme, une entreprise du Groupe Sanofi

Genzyme a ouvert la voie dans le développement et la distribution de thérapies innovantes pour les patients atteints de maladies graves et invalidantes depuis plus de 30 ans. Pour atteindre ses objectifs, l'entreprise mène des recherches de dimension mondiale et s'appuie sur l'engagement et la compassion de ses collaborateurs. Ses produits et services se concentrent sur les maladies rares et la sclérose en plaques afin d'avoir un impact positif sur la vie des patients et de leurs familles. Cet objectif oriente et inspire chacune des actions de l'entreprise. Le portefeuille de produits innovants de Genzyme est commercialisé dans le monde entier et représente des avancées majeures et salvatrices en médecine. Genzyme fait partie du Groupe Sanofi et bénéficie à ce titre de la taille et des ressources de l'une des plus grandes entreprises pharmaceutiques du monde, avec laquelle elle partage le même engagement au service des patients et la volonté d'améliorer leur qualité de vie. Pour plus d'informations sur Genzyme : www.genzyme.com.

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](#)).

Déclarations prospectives Sanofi

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 moyen 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

Jack Cox

Tél: +33 (0) 1 53 77 94 74

E-mail: mr@sanofi.com

Sanofi Relations Investisseurs

Sébastien Martel

Tél: +33 (0) 1 53 77 45 45

E-mail: ir@sanofi.com

Genzyme Relations Presse

Lori Gorski

Tél: (617) 768-9344

E-mail: Lori.Gorski@genzyme.com