

Sanofi fait le point sur le programme clinique consacré au venglustat

PARIS – Le 1^{er} juin 2021 – Une étude pivot de phase II/III consacrée au venglustat dans le traitement de la polykystose rénale autosomique dominante (PKD) n'a pas atteint son critère de futilité et Sanofi a mis un terme au programme clinique dans cette indication. Le profil de sécurité du venglustat reste cohérent avec les résultats rapportés antérieurement, qui concernent plus de 500 patients traités à ce jour pendant une durée pouvant aller jusqu'à quatre ans, tous programmes cliniques consacrés à ce médicament confondus. Les données relatives aux biomarqueurs tirées de cette étude ont permis de confirmer que le venglustat exerce bien un effet inhibiteur sur la voie des glycosphingolipides (GSL), comme en témoigne la diminution des concentrations de GL-1, un lipide qui s'accumule dans certaines cellules.

L'étude STAGED-PKD a été suspendue à la suite d'une analyse indépendante de futilité portant sur le taux annualisé de variation du volume rénal total des patients traités par venglustat comparativement à un placebo. Les tendances qui se dégagent de l'analyse indiquent en effet que le venglustat n'a pas permis d'obtenir de réduction significative du taux de croissance du volume rénal total – le principal critère de jugement de la partie 1 de l'étude de phase II/III. Cette analyse intermédiaire donne à penser que la réduction des taux de glycosphingolipides (GSL) pourrait ne pas jouer un rôle significatif dans la prévention de la croissance des kystes rénaux et, à ce titre, pourrait ne pas être la voie principale mise en cause dans la progression de la maladie. Les recherches expérimentales menées sur le venglustat dans le traitement de la PKD avaient pour but d'étudier une nouvelle fonction biologique des GSL au-delà de celle, bien établie, que jouent ces lipides dans les maladies de surcharge lysosomale.

« Nous avons lancé le programme de développement du venglustat parce que nous croyons dans son potentiel thérapeutique innovant et dans sa capacité à répondre aux besoins médicaux non pourvus des personnes souffrant de maladies de surcharge lysosomale », a précisé le docteur John Reed, Ph.D., Responsable Monde de la Recherche et Développement de Sanofi. « Parallèlement, nous avons entrepris d'évaluer le venglustat dans le traitement de la polykystose rénale autosomique dominante, l'une des principales causes de transplantation rénale. Les résultats obtenus n'ont pas été à la hauteur de nos attentes, en particulier pour les patients souffrant de PKD. Nos recherches ont en revanche permis d'approfondir les connaissances scientifiques sur la PKD et de démontrer que la modulation de la voie GSL ne suffit pas pour restaurer la fonction rénale des adultes porteurs de cette maladie. »

Sanofi a mené et continue de mener des études dans le but d'évaluer le venglustat dans le traitement de la maladie de Gaucher de type 3 et de la gangliosidose à GM2, deux maladies de surcharge lysosomale causées par des déficits génétiques héréditaires. L'accumulation anormale de GSL est une caractéristique de certaines maladies de surcharge lysosomale et les études cliniques menées sur des agents thérapeutiques qui favorisent l'élimination de ces dépôts de lipides ont donné leurs preuves pour la maladie de Fabry et la maladie de Gaucher. Dans ce contexte, le venglustat agit comme réducteur de substrat, un concept clinique qui a également déjà été validé pour certaines maladies de surcharge lysosomale.

À propos du venglustat

Les glycosphingolipides (GSL) sont des éléments constitutifs des cellules dont l'accumulation anormale est mise en cause dans plusieurs maladies rares, en plus d'être à l'origine à la fois de dysfonctionnements cellulaires et de l'évolution de ces maladies. Le venglustat est un nouveau traitement expérimental de fond, par voie orale, qui a le potentiel de ralentir la progression de certaines maladies en inhibant l'accumulation anormale de GSL. Le venglustat 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 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

Sally Bain
Tél.: +1 (781) 264-1091
Sally.Bain@sanofi.com

Relations Investisseurs – Paris

Eva Schaefer-Jansen
Arnaud Delepine

Relations Investisseurs – Amérique du Nord

Felix Lauscher
Fara Berkowitz
Suzanne Greco

Ligne principale Relations Investisseurs :

Tél.: +33 (0)1 53 77 45 45
investor.relations@sanofi.com
<https://www.sanofi.com/en/investors/contact>

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 2020 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 2020 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.