

# *Le rilzabrutinib de Sanofi obtient la désignation de médicament orphelin dans l'UE pour la maladie liée aux IgG4*

- Données de l'étude positive de phase 2 évaluant le rilzabrutinib pour le traitement de la maladie liée aux IgG4 présentée à l'EULAR de 2025
- Cette nouvelle désignation de médicament orphelin souligne l'engagement de Sanofi en faveur du développement de nouveaux médicaments contre les maladies rares à médiation immunitaire

**Paris, le 14 août 2025.** L'Agence européenne des médicaments (European Medicines Agency, EMA) a accordé la désignation de médicament orphelin au rilzabrutinib, un inhibiteur de la tyrosine kinase de Bruton (BTK) covalent et réversible, pour la maladie liée aux IgG4 (IgG4-related disease, IgG4-RD). L'EMA accorde une désignation de médicament orphelin aux thérapies expérimentales visant à traiter des maladies ou affections médicales rares, mettant en jeu le pronostic vital ou invalidantes, qui n'affectent pas plus de 5 personnes sur 10 000 dans l'UE.

Le rilzabrutinib dans le traitement de la maladie liée aux IgG4 a été évalué dans une étude de phase 2 (identifiant de l'étude clinique : [NCT04520451](#)) et les résultats ont été présentés lors de l'édition 2025 du Congrès organisé par l'Alliance européenne des associations de rhumatologie (European Alliance of Associations for Rheumatology, EULAR). Chez les patients atteints de IgG4-RD le traitement par rilzabrutinib pendant 52 semaines a permis de réduire les poussées de la maladie, d'autres marqueurs de la maladie, ainsi que le recours aux glucocorticoïdes. Le profil de sécurité d'emploi du rilzabrutinib dans l'étude était cohérent avec celui des études précédentes, sans nouveau signal de sécurité d'emploi observé.

En plus de la maladie liée aux IgG4, le rilzabrutinib a reçu la désignation de médicament orphelin pour la thrombocytopénie immunitaire (TPI) aux États-Unis, dans l'UE et au Japon, ainsi que pour l'[anémie hémolytique auto-immune de type chaud](#), la [maladie liée aux IgG4](#) et la [drépanocytose](#) aux États-Unis. Le rilzabrutinib a également obtenu la désignation d'évaluation accélérée (« Fast track ») aux États-Unis dans le cadre du TPI et de la maladie liée aux IgG4.

Le rilzabrutinib est actuellement en cours d'examen réglementaire aux États-Unis, dans l'UE et en Chine pour son utilisation potentielle dans la TPI. La date d'action cible pour la décision réglementaire de la FDA pour la TPI, qui a obtenu la désignation de voie rapide, est le 29 août 2025.

Le rilzabrutinib est un agent expérimental, et sa sécurité d'emploi et son efficacité n'ont été évaluées par aucune autorité réglementaire.

### *À propos du rilzabrutinib*

Le rilzabrutinib est un nouvel inhibiteur covalent, réversible, oral et avancé de la BTK qui a le potentiel d'être un nouveau médicament efficace pour plusieurs maladies inflammatoires ou à médiation immunitaire rares en travaillant à restaurer l'équilibre immunitaire via une modulation multi-immune. La BTK, exprimée dans les cellules B, les macrophages et d'autres cellules immunitaires innées, joue un rôle essentiel dans les différents processus pathologiques à médiation immunitaire et les voies inflammatoires. Grâce à l'application de la technologie TAILORED COVALENCY®, le rilzabrutinib peut inhiber sélectivement la cible BTK tout en réduisant potentiellement le risque d'effets secondaires hors cible.

### *À propos de la IgG4-RD*

La maladie liée aux IgG4 est une maladie rare, chronique, progressive, récurrente, à médiation immunitaire, qui peut se manifester dans presque tous les organes et entraîner des lésions

organiques et des dysfonctionnements irréversibles, parfois mortels. Les personnes atteintes de IgG4-RD présentent des poussées fréquentes de la maladie, caractérisées par des périodes d'exacerbation des symptômes. Elle touche environ huit patients adultes sur 100 000 aux États-Unis chaque année. En raison de sa rareté et des difficultés diagnostiques, la prévalence mondiale de la maladie liée aux IgG4 est inconnue.

### *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](mailto:sandrine.guendoul@sanofi.com)  
**Evan Berland** | +1 215 432 0234 | [evan.berland@sanofi.com](mailto:evan.berland@sanofi.com)  
**Léo Le Bourhis** | +33 6 75 06 43 81 | [leo.lebourhis@sanofi.com](mailto:leo.lebourhis@sanofi.com)  
**Victor Rouault** | +33 6 70 93 71 40 | [victor.rouault@sanofi.com](mailto:victor.rouault@sanofi.com)  
**Timothy Gilbert** | +1 516 521 2929 | [timothy.gilbert@sanofi.com](mailto:timothy.gilbert@sanofi.com)  
**Léa Ubaldi** | +33 6 30 19 66 46 | [lea.ubaldi@sanofi.com](mailto:lea.ubaldi@sanofi.com)

### *Relations avec les investisseurs*

**Thomas Kudsk Larsen** | +44 7545 513 693 | [thomas.larsen@sanofi.com](mailto:thomas.larsen@sanofi.com)  
**Alizé Kaisserian** | +33 6 47 04 12 11 | [alize.kaisserian@sanofi.com](mailto:alize.kaisserian@sanofi.com)  
**Felix Lauscher** | +1 908 612 7239 | [felix.lauscher@sanofi.com](mailto:felix.lauscher@sanofi.com)  
**Keita Browne** | +1 781 249 1766 | [keita.browne@sanofi.com](mailto:keita.browne@sanofi.com)  
**Nathalie Pham** | +33 7 85 93 30 17 | [nathalie.pham@sanofi.com](mailto:nathalie.pham@sanofi.com)  
**Tarik Elgoutni** | +1 617 710 3587 | [tarik.elgoutni@sanofi.com](mailto:tarik.elgoutni@sanofi.com)  
**Thibaud Châtelet** | +33 6 80 80 89 90 | [thibaud.chatelet@sanofi.com](mailto:thibaud.chatelet@sanofi.com)  
**Yun Li** | +33 6 84 00 90 72 | [yun.li3@sanofi.com](mailto: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.