

### *L'autorisation de Sanofi pour Tzielid a été acceptée aux États-Unis pour le diabète de type 1 de stade 3 dans le cadre du programme pilote du voucher national de priorité du Commissaire de la FDA*

- Si elle est approuvée, Tzielid serait la première thérapie modifiant la maladie à ralentir la progression du diabète de type 1 de stade 3 chez les adultes et les patients pédiatriques âgés de huit ans et plus, récemment diagnostiqués à ce stade
- Tzielid fait également l'objet d'un examen dans le cadre du programme d'accélération approuvée

**Paris, le 20 octobre 2025.** La Food and Drug Administration (FDA) des États-Unis a accepté pour examen accéléré la demande de licence biologique supplémentaire (sBLA) pour Tzielid (teplizumab-mzwv) afin de ralentir la progression du diabète de type 1 de stade 3 chez les adultes et les patients pédiatriques âgés de huit ans et plus, récemment diagnostiqués à ce stade. La FDA a désigné Tzielid pour le programme pilote de bons de priorité nationale du commissaire (Commissioner's National Priority Voucher, CNPV) en raison de son potentiel à répondre à un important besoin médical non satisfait. Le programme CNPV vise à raccourcir le processus d'examen, qui prend habituellement 10 à 12 mois, à un à deux mois, tout en maintenant les normes rigoureuses de sécurité et d'efficacité de la FDA.

*« Nous sommes fiers que Tzielid ait été accepté pour examen accéléré par la FDA dans le cadre du programme pilote du voucher national de priorité du Commissaire, ce qui pourrait nous permettre d'aller plus loin et plus vite pour les patients et de montrer la voie avec une science de pointe », a déclaré **Olivier Charmeil**, vice-président exécutif, General Medicines, Sanofi. « Il s'agit d'une reconnaissance du profil innovant et révolutionnaire de Tzielid, de sa capacité à prévenir la progression naturelle du diabète de type 1, ainsi que du besoin médical important encore non satisfait dans ce domaine qui a connu des traitements thérapeutiques limités au cours des 100 dernières années. »*

La sBLA est appuyée par les résultats de [l'étude de phase 3 PROTECT](#), qui a atteint son objectif principal d'évaluation, portant sur la préservation de la fonction des cellules bêta, mesurée par un ralentissement significatif de la diminution des niveaux moyens de peptide C (aire sous la courbe [AUC] après un test de tolérance à un repas mixte de quatre heures) à la fin de l'essai, par rapport au placebo. De plus, la sBLA s'appuie sur le programme de développement clinique de Tzielid, impliquant plus de 1 000 patients.

Les effets indésirables observés lors de l'étude de phase 3 PROTECT étaient cohérents avec ceux des études précédentes. Les effets indésirables les plus fréquents étaient les maux de tête, nausées, éruptions cutanées, lymphopénie et symptômes gastro-intestinaux, conformément au mode d'action de la libération de cytokines. 1,8 % des participants ayant reçu Tzielid dans l'étude PROTECT ont développé un syndrome de libération de cytokines possiblement ou probablement lié à Tzielid.

De plus, Tzielid est examinée dans le cadre du programme d'approbation accélérée, une voie permettant à la FDA d'évaluer des thérapies destinées à traiter des maladies graves répondant à un besoin médical non satisfait, sur la base d'un critère substitut raisonnablement susceptible de prédire un bénéfice clinique. Conformément à cette exigence, l'étude de confirmation BETA-PRESERVE de phase 3 (identifiant de l'étude clinique : [NCT07088068](#)) a été récemment lancée et recrute actuellement des participants.

Tziel est approuvé aux États-Unis, au Royaume-Uni, en Chine, au Canada, en Israël, dans le Royaume d'Arabie saoudite, aux Émirats arabes unis et au Koweït pour retarder l'apparition du diabète de type 1 de stade 3 chez les adultes et les patients pédiatriques âgés de huit ans et plus, diagnostiqués avec un diabète de type 1 de stade 2. Des examens réglementaires sont en cours dans l'UE et dans d'autres juridictions à travers le monde. Tziel a été précédemment désigné par la FDA comme thérapie révolutionnaire (Breakthrough Therapy) et a obtenu le statut de médicament orphelin, attribué aux médicaments expérimentaux traitant des maladies rares touchant moins de 200 000 personnes aux États-Unis. La sécurité et l'efficacité de Tziel dans le diabète de type 1 de stade 3 n'ont pas encore été approuvées par une autorité réglementaire.

### *À propos de PROTECT*

PROTECT (identifiant de l'étude clinique : [NCT03875729](#)) était une étude de phase 3, randomisée, en double aveugle, contrôlée par placebo et menée à l'international. Elle a recruté 328 enfants et adolescents (Tziel n=217, placebo n=111) âgés de 8 à 17 ans, diagnostiqués avec un diabète de type 1 clinique de stade 3 au cours des six semaines précédentes ; le ratio de randomisation Tziel/placebo était de 2:1. Les participants ont reçu une première série de 12 perfusions quotidiennes (soit Tziel, soit placebo) lors de la randomisation, suivie d'une deuxième série de 12 perfusions quotidiennes après 26 semaines (environ six mois). Tous les participants ont reçu les médicaments requis à titre de traitement standard.

L'objectif principal de l'étude PROTECT était de déterminer si Tziel pouvait préserver la fonction des cellules bêta, mesurée par le peptide C, par rapport au placebo. Cela a été évalué via l'objectif principal de l'essai, qui mesurait la différence de variation moyenne du niveau de peptide C (aire sous la courbe temps-concentration [AUC] mesurée après un test de tolérance à un repas mixte de quatre heures) entre le départ et la semaine 78 pour les deux groupes.

Les principaux critères secondaires comprenaient la variation de l'HbA1c, le temps passé dans la plage cible mesuré par un CGM, les épisodes d'hypoglycémie cliniquement significatifs et l'utilisation d'insuline exogène. Le temps dans la plage était défini comme :  $\geq 70$  mais  $\leq 180$  mg/dL. Les épisodes d'hypoglycémie cliniquement pertinents ont été définis comme suit : hypoglycémie de niveau 2 ( $<54$  mg/dL /  $3,0$  mmol/L) et hypoglycémie de niveau 3, correspondant à des épisodes de déficience cognitive sévère nécessitant une assistance extérieure pour la récupération, même en l'absence de mesure de la glycémie.

Les autres critères secondaires comprenaient les effets indésirables et les aspects généraux de sécurité, ainsi que la pharmacocinétique et l'immunogénicité de Tziel. Une étude d'extension observationnelle, suivant les participants pendant 42 mois supplémentaires, est en cours.

### *À propos du Tziel*

Le Tziel (téplizumab-mzwv) est un anticorps monoclonal dirigé CD3. Le Tziel est le premier et le seul traitement modificateur de la maladie dans le D T1 auto-immune ; il a été approuvé aux États-Unis en novembre 2022 pour retarder l'apparition du diabète de type 1 de stade 3 chez les adultes et les enfants de huit ans chez lesquels un D T1 de stade 2 a été diagnostiqué. Aujourd'hui, il est également approuvé au Royaume-Uni, en Chine, au Canada, en Israël, au Royaume d'Arabie saoudite, aux Émirats arabes unis et au Koweït pour la même indication. Des examens réglementaires sont en cours dans l'UE et dans d'autres juridictions à travers le monde.

### *À propos du D T1 auto-immune*

Le diabète T1 est une maladie auto-immune progressive dans laquelle la capacité de l'organisme à réguler les taux de sucre sanguin est affectée en raison de la destruction progressive des cellules bêta productrices d'insuline par son propre système immunitaire. Il existe quatre étapes dans la progression du D T1 :

- Au stade 1, l'attaque auto-immune des cellules bêta a commencé, et cela peut être détecté par la présence d'au moins 2 auto-anticorps liés au D T1 dans le sang. Pendant l'étape 1, les taux de glycémie sont dans une plage normale (normoglycémie). À ce stade, le D T1 est présymptomatique.
- Au stade 2 (également présymptomatique), en plus de la présence d'au moins 2 auto-anticorps liés au D T1, les taux de glycémie sont désormais anormaux (dysglycémie) en raison de la perte progressive des cellules bêta ou de la fonction des cellules bêta.
- L'étape 3 (également appelée stade clinique) survient une fois qu'une partie significative des cellules bêta a été détruite. À ce stade, l'augmentation du taux de sucre sanguin atteint le point d'hyperglycémie clinique (qui définit le diabète), et de nombreuses personnes commenceront à présenter les symptômes classiques qui accompagnent l'apparition du D T1 de stade 3 : augmentation de la soif, miction fréquente, perte de poids inexpliquée, vision trouble et fatigue généralisée. La prise en charge du D T1 de stade 3 nécessite une insulinothérapie substitutive quotidienne et lourde.
- Le stade 4 est défini comme un D T1 auto-immune de longue date, souvent accompagné de signes de complications diabétiques chroniques, avec peu ou pas de fonction des cellules bêta restantes (on estime que la masse des cellules bêta est réduite de jusqu'à 95 %). À ce stade, les auto-anticorps liés au D T1 peuvent ne plus être présents dans le sang, car la plupart des cellules bêta ont été rendues inutiles par l'attaque auto-immune.

### *À propos de Sanofi*

Nous sommes une entreprise mondiale innovante dans le domaine de la santé, motivée par un seul but : nous courons après les miracles de la science pour améliorer la vie des gens. Notre équipe, dans le monde entier, se consacre à transformer la pratique de la médecine en s'efforçant de transformer l'impossible en possible. Nous fournissons des options de traitement qui peuvent potentiellement changer la vie et une protection vaccinale pour sauver des vies à des millions de personnes dans le monde, tout en plaçant la durabilité et la responsabilité sociale au cœur de nos ambitions.

Sanofi est cotée sur Euronext : SAN et NASDAQ : SNY

### *Relations presse*

**Sandrine Guendoul** | +33 6 25 09 14 25 | [sandrine.quendoul@sanofi.com](mailto:sandrine.quendoul@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 – 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.