

L'efdoralprine alfa de Sanofi a atteint tous les critères d'évaluation principaux et secondaires clés dans l'étude de phase II sur l'emphysème par déficit en alpha-1-antitrypsine

- L'efdoralprine alfa a démontré sa supériorité dans une étude comparative directe par rapport à un traitement standard dérivé du plasma
- Les résultats renforcent l'effet potentiel de l'efdoralprine alfa de constituer le premier traitement de restauration recombinant à normaliser et à maintenir les taux de AAT fonctionnels
- Les données de phase II soutiennent les schémas posologiques de trois semaines et quatre semaines pour l'efdoralprine alfa, ce qui représenterait une amélioration significative en termes de commodité par rapport à une thérapie dérivée du plasma, administrée chaque semaine

Paris, le 22 octobre 2025. Les résultats positifs de l'étude mondiale de phase 2 ElevAATe (identifiant d'étude clinique : [NCT05856331](#)) ont montré que l'efdoralprine alfa (SAR447537, anciennement connu sous le nom d'INBRX-101), a atteint tous les critères d'évaluation principaux et secondaires lorsqu'il était dosé toutes les trois semaines (Q3W) ou quatre semaines (Q4W) chez des adultes atteints d'emphysème par déficit en alpha-1 antitrypsine (DAAT), une maladie rare. L'efdoralprine alfa est une protéine de fusion recombinante alpha-1 antitrypsine (AAT)-Fc humaine expérimentale. Il a démontré une augmentation moyenne statistiquement significative des taux d'AAT fonctionnels dans la plage normale, mesurée par les concentrations minimales à l'état d'équilibre, par rapport aux patients recevant un traitement de remplacement dérivé du plasma hebdomadaire à la semaine 32 [$p < 0,0001$]. L'étude a également satisfait aux principaux critères d'évaluation secondaires, démontrant une augmentation moyenne supérieure de la concentration moyenne de fAAT ainsi qu'un pourcentage plus élevé de jours au-dessus de la limite inférieure de la plage normale pour les schémas d'administration toutes les trois semaines et toutes les quatre semaines.

L'efdoralprine alfa recombinante a été bien tolérée, avec un profil d'événements indésirables similaire à celui du traitement dérivé du plasma. Un suivi supplémentaire sur la sécurité d'emploi sera évalué dans l'étude de phase 2 ElevAATe OLE (identifiant de l'étude clinique : [NCT05897424](#)).

*« Ces données démontrent que l'efdoralprine alfa a atteint des taux d'AAT fonctionnels systématiquement supérieurs à la normale, avec un dosage moins fréquent qu'avec un traitement standard actuel », a déclaré **Christopher Corsico**, responsable mondial du développement chez Sanofi. « Cela est particulièrement significatif, car le maintien du taux de protéines protectrices est la pierre angulaire de la prise en charge pulmonaire du DAAT et les traitements disponibles actuellement nécessitent des perfusions thérapeutiques hebdomadaires. Les résultats d'ElevAATe représentent le potentiel de l'efdoralprine alfa en tant qu'option thérapeutique recombinante restauratrice pour la communauté du DAAT, ce qui renforce notre engagement à développer des solutions pour les affections respiratoires et rares qui représentent un important besoin non satisfait. »*

*« Le DAAT est une maladie invalidante dont le traitement relève parfois du défi », a déclaré **Igor Barjaktarevic**, MD, PhD, professeur associé à la David Geffen School of Medicine à UCLA et investigateur principal dans l'étude de phase 2 ElevAATe. « L'obtention et le maintien de taux d'AAT normaux avec un dosage moins fréquent et en totale indépendance des programmes de dons de sang serait une avancée bienvenue dans la pratique thérapeutique actuelle pour les personnes vivant avec un DAAT. Le traitement standard actuel permet aux patients d'atteindre, sans les maintenir, des taux*

de protéines normaux entre les perfusions, ce qui laisse subsister un besoin non satisfait. Je suis encouragé par les résultats de l'essai ElevAATe et par ce que pourrait signifier l'efdoralprine alfa pour la communauté du DAAT. »

L'efdoralprine alfa a déjà reçu la désignation de médicament orphelin et à voie rapide de l'Agence américaine des produits alimentaires et médicamenteux (US Food and Drug Administration, FDA) pour le traitement de l'emphysème par DAAT. L'efdoralprine alfa est actuellement en cours d'investigation clinique ; ses profils de sécurité et d'efficacité n'ont été évalués par aucune autorité réglementaire. Sanofi prévoit de présenter les données lors d'une prochaine réunion médicale et de s'engager avec les autorités réglementaires mondiales sur les prochaines étapes appropriées.

À propos du DAAT

Le DAAT est une maladie héréditaire rare, caractérisée par de faibles taux ou par l'absence d'AAT, une protéine produite par le foie qui protège les poumons de l'inflammation et des lésions.^{1,3} La maladie provoque une détérioration progressive des tissus des poumons et du foie.^{1,4} Sans les taux d'AAT adéquats, les personnes affectées présentent souvent des lésions pulmonaires et développent une BPCO, telle que l'emphysème, et dans les formes sévères de la maladie, les patients nécessitent parfois une greffe de poumon. Des thérapies dérivées du plasma ont été introduites en 1987 pour traiter la maladie, mais depuis lors, aucune nouvelle thérapie n'a été introduite. Environ 235 000 personnes dans le monde vivent avec un DAAT, dont près de 100 000 personnes aux États-Unis, mais environ 90 % des personnes atteintes d'un DAAT ne sont probablement pas diagnostiquées.

À propos de l'efdoralprine alfa

L'efdoralprine alfa (SAR447537, anciennement connu sous le nom d'INBRX-101) est une protéine de fusion recombinante de l'AAT-Fc humaine qui est étudiée comme traitement de restauration chez les adultes atteints d'emphysème par DAAT, avec une administration toutes les 3 ou 4 semaines. Le traitement expérimental est en cours d'étude pour restaurer les taux fonctionnels d'AAT à la normale et inhiber l'élastase des neutrophiles, une enzyme qui peut endommager les tissus pulmonaires chez les patients atteints de DAAT. L'efdoralprine alfa s'est vu accorder la désignation rapide et la désignation de médicament orphelin par la FDA pour le traitement de l'emphysème par DAAT.

À propos d'ElevAATe

L'étude de phase 2 ElevAATe était une étude randomisée en double aveugle qui a évalué l'efdoralprine alfa par rapport à un traitement standard de remplacement dérivé du plasma chez des patients atteints d'emphysème par DAAT. Quatre-vingt-dix-sept patients avaient été randomisés selon un rapport 2:2:1 pour recevoir l'efdoralprine alfa toutes les trois semaines ou toutes les quatre semaines, ou un traitement de remplacement dérivé du plasma une fois par semaine. L'objectif principal était la variation moyenne entre les concentrations moyennes de fAAT mesurées à la référence et les concentrations sériques moyennes de fAAT à l'état d'équilibre chez des patients traités par efdoralprine alfa toutes les 3 ou toutes les 4 semaines par rapport à un traitement de remplacement dérivé du plasma hebdomadaire, après une période de traitement allant jusqu'à 32 semaines. Les principaux critères d'évaluation secondaires comprenaient la variation moyenne entre la concentration sérique de fAAT à la référence et les concentrations moyennes de fAAT à l'état d'équilibre et le pourcentage de jours pendant lesquels les taux d'AAT fonctionnels à l'état d'équilibre étaient supérieurs à la limite inférieure de la plage normale.

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

Evan Berland | +1 215 432 0234 | evan.berland@sanofi.com

Léo Le Bourhis | +33 6 75 06 43 81 | leo.lebourhis@sanofi.com

Victor Rouault | +33 6 70 93 71 40 | victor.rouault@sanofi.com

Timothy Gilbert | +1 516 521 2929 | timothy.gilbert@sanofi.com

Léa Ubaldi | +33 6 30 19 66 46 | lea.ubaldi@sanofi.com

Relations avec les investisseurs

Thomas Kudsk Larsen | + 44 7545 513 693 | thomas.larsen@sanofi.com

Alizé Kaisserian | + 33 6 47 04 12 11 | alize.kaisserian@sanofi.com

Felix Lauscher | + 1 908 612 7239 | felix.lauscher@sanofi.com

Keita Browne | + 1 781 249 1766 | keita.browne@sanofi.com

Nathalie Pham | + 33 7 85 93 30 17 | nathalie.pham@sanofi.com

Tarik Elgoutni | + 1 617 710 3587 | tarik.elgoutni@sanofi.com

Thibaud Châtelet | + 33 6 80 80 89 90 | thibaud.chatelet@sanofi.com

Yun Li | +33 6 84 00 90 72 | 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 mentionnées dans le présent communiqué de presse sont la propriété du groupe Sanofi.