

La thérapie SAR446268 de Sanofi obtient son admission dans la procédure accélérée américaine pour le traitement de la dystrophie myotonique non congénitale de type 1

- Admission obtenue pour la thérapie génique AAV unique SAR446268, conçue pour atténuer l'expression de la DMPK
- La dystrophie myotonique de type 1 (DM1) est une maladie génétique rare qui provoque une faiblesse musculaire progressive et une atrophie, sans médicaments actuellement approuvés

Paris, le 23 septembre 2025. L'Agence américaine des produits alimentaires et médicamenteux (US Food and Drug Administration, FDA) a accordé la procédure accélérée à SAR446268, la thérapie génique AAV unique de Sanofi pour le traitement de la dystrophie myotonique type 1 non congénitale (DM1) juvénile et adulte. Ce processus d'admission vise à faciliter le développement et à accélérer l'examen des médicaments destinés à traiter les affections graves et répondre à un besoin médical non satisfait. La FDA a créé ce processus pour aider à mettre plus rapidement à la disposition des patients de nouveaux médicaments importants, et il couvre un large éventail de maladies graves.

SAR446268 utilise une approche d'interférence ARN vectorisée (ARNi) pour réduire au silence l'expression du *DMPK* au moyen d'une seule administration. En réduisant les transcriptions du *DMPK*, la thérapie génique vise à éliminer les foyers d'ARN anormaux et toxiques responsables de défauts d'épissage dans le tissu musculaire, rétablissant ainsi l'épissage normal et améliorant la fonction musculaire. Cette approche a le potentiel de traiter les principaux symptômes de la maladie, notamment la faiblesse musculaire progressive, la difficulté à détendre les muscles (myotonie) et les effets sur plusieurs systèmes corporels, y compris le cœur, les poumons et les fonctions endocriniennes. SAR446268 est la seule thérapie expérimentale en cours de développement clinique pour cette maladie, et il n'y a actuellement aucun traitement approuvé pour la DM1.

SAR446268 fait actuellement l'objet d'une première étude menée chez l'homme, en phase 1-2 pour évaluer l'innocuité, la tolérabilité et l'efficacité (identifiant de l'étude clinique : [NCT06844214](#)). L'inclusion du premier patient est prévue pour fin 2025. Sanofi a déjà obtenu des admissions orphelines pour le SAR446268 aux États-Unis (juillet 2024) et dans l'UE (octobre 2024).

À propos de la dystrophie myotonique de type 1

La dystrophie myotonique de type 1, également connue sous le nom de maladie de Steinert, est une maladie héréditaire, progressive et rare qui touche environ 1 personne sur 2 300 dans le monde. L'affection est causée par des mutations du gène *DMPK* et se caractérise par une faiblesse musculaire progressive, des difficultés à détendre les muscles (myotonie) et des effets sur plusieurs systèmes corporels, y compris le cœur, les poumons et les fonctions endocriniennes. La DM1 peut se manifester à tout âge avec une gravité variable, depuis des cas adultes légers jusqu'aux formes congénitales sévères, et a un impact profond sur la qualité de vie, affectant la capacité des patients à effectuer leurs activités quotidiennes, à maintenir leur indépendance et, dans les cas sévères, à maintenir des fonctions vitales. Il n'existe actuellement aucun traitement approuvé pour la DM1.

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 réaliser une croissance à long terme. Nous appliquons notre

connaissance approfondie du système immunitaire pour inventer des médicaments et des vaccins qui traitent et protègent des millions de personnes dans le monde entier, avec un pipeline innovant qui pourrait bénéficier à des millions d'autres. Notre équipe est guidée par un seul objectif : nous poursuivons les miracles de la science pour améliorer la vie des gens ; cela nous inspire pour stimuler le progrès et avoir un impact positif pour nos collaborateurs et les communautés que nous servons, en relevant les défis les plus urgents de notre époque en matière sanitaire, environnementale, et sociétale.

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 citées dans le présent communiqué de presse sont la propriété du groupe Sanofi.