

Le venglustat de Sanofi a été accepté pour un examen prioritaire aux États-Unis afin de traiter la maladie de Gaucher de type 3

Paris, le 28 mai 2026. L'Agence américaine des produits alimentaires et médicamenteux (*Food and Drug Administration*, FDA) a accordé un examen prioritaire à la nouvelle demande de médicament (*New Drug Application*, NDA) pour le venglustat, un nouvel inhibiteur oral expérimental de la glucosylcéramide synthase (*Glucosylceramide synthase inhibitor*, GCSI), pour le traitement de la maladie de Gaucher de type 3 (MG3), un trouble rare de conservation lysosomale.

S'il était approuvé, le venglustat deviendrait le premier traitement disponible aux États-Unis pour traiter les manifestations neurologiques progressives associées à la MG3 et élargir le portefeuille d'options thérapeutiques de Sanofi pour les patients atteints de maladies de surcharge lysosomale. La date d'action cible pour la décision de la FDA est le 25 novembre 2026.

La maladie de Gaucher est marquée par l'accumulation anormale de molécules de sucre et de graisse appelées glycosphingolipides (GSL) dans la rate, le foie, la moelle osseuse et les poumons. Chez les patients atteints de la MG3, ces molécules s'accumulent également dans le système nerveux central (SNC) où elles entraînent une neuroinflammation, ce qui peut entraîner des manifestations neurologiques, y compris des déficits cognitifs et des difficultés de coordination et d'équilibre (ataxie), en plus des effets systémiques de la maladie. Il n'existe actuellement aucun traitement ciblé approuvé qui traite spécifiquement les symptômes neurologiques de la MG3. En franchissant la barrière hémato-encéphalique, le venglustat est susceptible de pouvoir traiter les manifestations neurologiques de la MG3.

L'IND est étayée par des données positives issues de l'étude de phase 3 LEAP2MONO (identifiant de l'étude clinique : [NCT05222906](#)), évaluant l'efficacité et la sécurité d'emploi du venglustat chez des patients adultes et pédiatriques, atteints de manifestations neurologiques de la GD3, ayant précédemment atteint une stabilisation des manifestations systémiques avec un traitement enzymatique substitutif (TES). Les [résultats](#) partagés au WORLDSymposium™ plus tôt cette année montrent que le venglustat a satisfait aux deux objectifs principaux de l'étude et à trois des quatre objectifs secondaires clés. Dans cette étude, le venglustat a été globalement bien toléré et n'a pas donné lieu à de nouveaux signaux de sécurité par rapport aux études précédentes. Les effets indésirables les plus fréquemment rapportés étaient les maux de tête (14,3 % dans le groupe venglustat contre 18,2 % dans le groupe TES), les nausées (14,3 % contre 4,5 %), l'hypertrophie de la rate (14,3 % contre 0) et la diarrhée (14,3 % contre 0).

Le venglustat avait déjà obtenu la désignation de « thérapie révolutionnaire » et la désignation de procédure accélérée de la FDA pour son potentiel dans la MG3, ainsi que la désignation de « médicament orphelin » pour la MG3 aux États-Unis, dans l'UE et au Japon. Le venglustat est aussi actuellement en cours d'examen réglementaire pour la MG3 dans l'UE. Sanofi poursuivra d'autres démarches réglementaires à l'échelle mondiale pour le venglustat dans le cadre de la MG3 en 2026.

La sécurité d'emploi et l'efficacité du venglustat pour MG3 n'ont été évaluées par aucune autorité réglementaire.

L'examen prioritaire est accordé aux applications réglementaires qui demandent l'approbation de traitements susceptibles de fournir des améliorations significatives dans le traitement, le diagnostic ou la prévention des affections graves.

À propos de LEAP2MONO

L'étude de phase 3 LEAP2MONO était une étude en double aveugle, à double placebo, avec comparateur actif, à deux bras, qui a évalué l'efficacité et la sécurité d'emploi du venglustat oral une fois par jour par rapport au TES intraveineux toutes les deux semaines chez des adultes et des enfants âgés de 12 ans et plus atteints de la MG3. Quarante-trois patients ont été randomisés [1 pour 1] afin de recevoir une perfusion de venglustat et de placebo ou un TES et un comprimé de placebo. Les patients devaient avoir été traités par TES depuis au moins trois ans et avoir atteint des objectifs thérapeutiques pour les manifestations systémiques de la maladie. Les objectifs principaux de l'étude étaient la variation du score total modifié de l'échelle d'évaluation et de notation de l'ataxie (score SARA) et la variation du score total de l'indice de l'échelle de la batterie répétable pour l'évaluation de l'état neuropsychologique (échelle RBANS) pour les patients recevant du venglustat par rapport à ceux recevant le TES entre l'inclusion et la semaine 52. Les principaux critères d'évaluation secondaires systémiques comprennent la variation en pourcentage du volume de la rate, du volume hépatique et de la numération plaquettaire ainsi que la variation des taux d'hémoglobine. Les principaux critères d'évaluation secondaires des biomarqueurs comprennent la variation en pourcentage du liquide céphalo-rachidien et du taux plasmatique de GL1 et de lyso-GL1. L'étude LEAP2MONO est en cours et les résultats de sa phase en ouvert seront présentés à l'avenir lorsqu'ils seront disponibles.

À propos du venglustat

Le venglustat est un nouvel inhibiteur expérimental de la GCSi administré par voie orale, conçu pour traverser la barrière hémato-encéphalique (c.-à-d., un produit qui pénètre le cerveau), qui a le potentiel de ralentir la progression de certaines maladies en inhibant l'accumulation anormale de GSL et ses conséquences physiopathologiques. Les GSL sont des éléments constitutifs cellulaires dont l'accumulation anormale est impliquée dans certaines maladies rares entraînant à la fois un dysfonctionnement cellulaire et la progression de la maladie. Le venglustat a déjà reçu la désignation de médicament orphelin dans l'UE, aux États-Unis et au Japon pour son traitement potentiel de la MG3 et de la maladie de Fabry. Il a également reçu la désignation accélérée de la FDA américaine pour son utilisation potentielle dans la MG3 et la maladie de Fabry.

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 nous attaquant aux 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 | +1 617 356 4751 | 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
Ekaterina Pesheva | +1 410 926 6780 | ekaterina.pesheva@sanofi.com

Relations avec les investisseurs

Thomas Kudsk Larsen | +44 7545 513 693 | thomas.larsen@sanofi.com
Alizé Kisserian | +33 6 47 04 12 11 | alize.kisserian@sanofi.com
Keita Browne | +1 781 249 1766 | keita.browne@sanofi.com
Nathalie Pham | +33 7 85 93 30 17 | nathalie.pham@sanofi.com
Nina Goworek | +1 908 569 7086 | nina.goworek@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. Les termes tels que « s'attendre à », « anticiper », « croire », « avoir l'intention de », « estimer », « planifier », « pouvoir », « envisager », « pourrait », « est conçu pour », « peut », « pourrait », « potentiel », « objectif », « tentative », « cible », « projeter », « stratégie », « s'efforcer », « souhaiter », « prédire », « prévoir », « ambition », « ligne directrice », « chercher à », « devrait », « sera », « but », ou leur forme négative, ainsi que d'autres termes similaires sont destinés à identifier des déclarations prospectives. 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 Food and Drug Administration américaine ou l'Agence européenne des médicaments, 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 ; les actions et contretemps réglementaires inattendus ou les réglementations étatiques en général ; les décisions des autorités concernant l'approbation ou non d'un produit candidat et le calendrier de cette approbation ; les pressions politiques aux États-Unis visant à imposer des prix plus bas pour les médicaments, notamment par la clause dite de la « nation la plus favorisée » pour les médicaments couverts par Medicare ; 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 ou obtenir les autorisations réglementaires y relatives, dont celles portant sur les données cliniques futures et l'analyse des données cliniques existantes relatives au produit, notamment les données post-commercialisation ; les problèmes imprévus de sécurité, de qualité ou de fabrication, la concurrence en général ; les risques associés à la propriété intellectuelle à tout litige en cours futur en la matière et à l'issue de ces litiges ; l'évolution des taux 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'Autorité des marchés financiers (AMF) et de la Securities and Exchange Commission (SEC) aux États-Unis, y compris ceux énumérés dans les rubriques « Facteurs de risque » et « Déclarations prospectives » du Document d'enregistrement universel 2025 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 2025 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. Au regard de ces risques, incertitudes et estimations, il convient de ne pas accorder une confiance excessive aux déclarations prospectives.

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