



## La FDA accorde l'appellation de découverte capitale à l'olipudase alfa de Genzyme

***- Une enzymothérapie substitutive expérimentale pour le traitement des manifestations non neurologiques qui caractérisent la maladie de Niemann-Pick de type B -***

**Paris - Le 4 juin 2015** - [Sanofi](#) et sa filiale [Genzyme](#) annoncent aujourd'hui que la Food and Drug Administration (FDA) des États-Unis a accordé l'appellation de découverte capitale à l'olipudase alfa. Cette enzymothérapie substitutive expérimentale est développée dans le traitement des patients présentant des manifestations non neurologiques d'un déficit en sphingomyélinase acide lysosomale (ASMD), aussi connu sous le nom de maladie de Niemann-Pick de type B, par opposition au type A, caractérisé par des implications neurologiques. La maladie de Niemann-Pick est une maladie grave et mortelle due à un déficit de l'activité de l'enzyme sphingomyélinase acide. Ce défaut est responsable de la surcharge des cellules en sphingomyéline. Il n'existe à l'heure actuelle aucun traitement approuvé pour les patients atteints de la maladie de Niemann-Pick de type B.

L'appellation de découverte capitale est destinée à accélérer le développement et les étapes réglementaires pour de nouveaux médicaments expérimentaux destinés au traitement de certaines maladies considérées comme graves ou potentiellement mortelles. Pour obtenir cette appellation, il importe de fournir des données cliniques préliminaires attestant de l'amélioration notable d'un critère d'évaluation clinique significatif par rapport aux autres traitements existants. L'appellation de découverte capitale est différente des autres mécanismes dont dispose la FDA pour accélérer le développement et l'évaluation des médicaments et permettra une collaboration étroite entre Genzyme et la FDA dans le cadre du programme de développement de l'olipudase alfa.

L'olipudase alfa est développée par Genzyme pour le traitement potentiel du déficit fondamental à l'origine de la maladie. La substitution de l'enzyme natif défectueux ou déficient par l'olipudase alfa permet d'éliminer la sphingomyéline dont l'accumulation est responsable des manifestations cliniques de la maladie de Niemann-Pick de type B.

L'appellation de découverte capitale repose sur les données d'une étude de phase 1b de l'olipudase alfa, aujourd'hui terminée. Les résultats obtenus chez cinq patients adultes atteints d'une maladie de Niemann-Pick de type B non neuropathique ont été présentés au Congrès mondial du Réseau des maladies lysosomales en février 2015. Les données présentées sur la tolérance de doses répétées, le profil pharmacodynamique et l'efficacité exploratoire de l'olipudase alfa justifient la poursuite de son développement, à titre expérimental, dans le traitement des manifestations non neurologiques de la maladie de Niemann-Pick de type B.

Genzyme a commencé à recruter des patients pour une étude de phase 1/2 pédiatrique et prépare l'inclusion d'adultes dans une étude de phase 2/3 prévue au deuxième semestre de 2015. Pour plus d'information, prière de consulter le site : <http://clinicaltrials.gov>.

*« Les patients atteints de la maladie de Niemann-Pick de type B présentent un important besoin médical non satisfait et nous espérons que le développement de l'olipudase alfa aboutira à un traitement qui leur sera efficace », a déclaré le Dr Richard Peters, Ph.D., Responsable de l'Unité Maladies Rares Globale de Genzyme. « Nous apprécions l'aide que la FDA apporte à ce programme*

*important, nous donnant l'opportunité d'utiliser une voie de développement de médicament accélérée pour l'olipudase alfa et donnant espoir aux patients atteints d'une maladie chronique, évolutive et invalidante. »*

### **A propos de la maladie de Niemann-Pick**

Traditionnellement dénommé maladie de Niemann-Pick de type A et de type B (NPD A et NPD B), le déficit en sphingomyélinase acide (ASMD) regroupe des maladies lysosomales dues à des mutations génétiques qui affectent le métabolisme. L'ASMD est causé par le déficit d'un enzyme spécifique, l'acide sphingomyélinase (ASM). Cet enzyme se trouve normalement dans des compartiments spéciaux, les lysosomes, à l'intérieur des cellules et doit métaboliser un lipide appelé sphingomyéline. Si l'ASM est absent ou fonctionne mal, la sphingomyéline ne peut pas être métabolisée correctement et s'accumule à l'intérieur de la cellule, pouvant causer sa mort et entraîner un dysfonctionnement des organes et systèmes atteints. Niemann-Pick A et Niemann-Pick B sont causées toutes deux par le même déficit enzymatique et il est de plus en plus apparent que les deux formes représentent les deux extrémités d'un continuum.

### **A propos de Genzyme, une entreprise du Groupe Sanofi**

Genzyme a ouvert la voie dans le développement et la distribution de thérapies innovantes pour les patients atteints de maladies graves et invalidantes depuis plus de 30 ans. Pour atteindre ses objectifs, l'entreprise mène des recherches de dimension mondiale et s'appuie sur l'engagement et la compassion de ses collaborateurs. Ses produits et services se concentrent sur les maladies rares et la sclérose en plaques afin d'avoir un impact positif sur la vie des patients et de leurs familles. Cet objectif oriente et inspire chacune des actions de l'entreprise. Le portefeuille de produits innovants de Genzyme est commercialisé dans le monde entier et représente des avancées majeures et salvatrices en médecine. Genzyme fait partie du Groupe Sanofi et bénéficie à ce titre de la taille et des ressources de l'une des plus grandes entreprises pharmaceutiques du monde, avec laquelle elle partage le même engagement au service des patients et la volonté d'améliorer leur qualité de vie. Pour plus d'informations sur Genzyme : [www.genzyme.com](http://www.genzyme.com).

Genzyme® est une marque déposée de Genzyme Corporation. Tous droits réservés.

### **A propos de Sanofi**

Sanofi, un leader mondial de la santé, recherche, développe et commercialise des solutions thérapeutiques centrées sur les besoins des patients. Sanofi possède des atouts fondamentaux dans le domaine de la santé avec sept plateformes de croissance : la prise en charge du diabète, les vaccins humains, les produits innovants, la santé grand public, les marchés émergents, la santé animale et le nouveau Genzyme. Sanofi est coté à Paris (EURONEXT: [SAN](#)) et à New York (NYSE: [SNY](#)).

### **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, l'absence de garantie que les produits candidats s'ils sont approuvés seront un succès commercial, l'approbation future et le succès commercial d'alternatives thérapeutiques, la capacité du Groupe à*

*saisir des opportunités de croissance externe, l'évolution des cours de change et des taux d'intérêt, l'impact de la politique de maîtrise des coûts opérationnels et leur évolution, le nombre moyens d'actions en circulation ainsi que 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 de référence 2014 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 2014 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.*

---

## **Contacts :**

### **Sanofi Relations Presse**

Jack Cox  
Tél: +33 (0) 1 53 77 46 46  
Email: [mr@sanofi.com](mailto:mr@sanofi.com)

### **Sanofi Relations Investisseurs**

Sébastien Martel  
Tél: +33 (0) 1 53 77 45 45  
Email: [ir@sanofi.com](mailto:ir@sanofi.com)

### **Genzyme Relations Presse**

Lori Gorski  
Tél: +1 617 768 9344  
Email: [Lori.Gorski@genzyme.com](mailto:Lori.Gorski@genzyme.com)