Gentilly, le 19 mars 2024. Sanofi annonce le lancement en France d'Enjaymo® (sutimlimab), l
e premier et seul traitement destiné
au traitement
des patients atteints d
e la
maladie des agglutines froides ayant
un
taux d'
Hb
≤ 10g/dl.
Cette
anémie hémolytique auto-immune rare liée à la présence d'anticorps «
agglutinines
froides »
conduit
le système immunitaire à s'attaquer par erreur aux globules rouges provoquant leur destruction.
Elle touche
principalement les patients de plus de 50 ans
[1]
,
et
se
manifeste
par
une anémie hémolytique aiguë ou chronique, avec pâleur et fatigue.

La maladie évolue par poussées d'hémolyse parfois sévères, favorisées par l'exposition au froid et/ou la survenue d'infections intercurrentes. Durant
c
es « crises »,
les patients peuvent présenter
de violentes douleurs dans le dos et les jambes, des céphalées, des vomissements, un ictère et une hémoglobinurie (urines foncées).
1
L
a maladie des agglutinines froides
altèr

e
la qualité de vie des patients et peut engager le pronostic vital lorsque l'anémie est profonde et/ou d'installation brutale.
1
E
n Europe du Nord
, l
e taux d'incidence
de la
maladie des agglutinines froides
est
estimé à
1
cas sur 1 million par an
.
[2]

Sabrina Beldjilali, PharmD

Responsable médicale Maladies rares du sang, Sanofi France

« Un nouveau chapitre s'ouvre pour les patients atteints de la maladie des agglutinines froides. Le lancement de sutimlimab en France représente un
progrès et un
espoir
significatif
s
dans la prise en charge de cette pathologie.
»

Enjaymo® premier et seul traitement agréé aux collectivités dans la maladie des agglutines froides

Dans son avis rendu le 30 août 2023, la Haute Autorité de Santé a estimé qu'Enjaymo® est le « médicament ayant actuellement le plus haut niveau de preuve dans la prise en charge de l'anémie liée à une maladie des agglutines froides . »

La commission de transparence a accordé à Enjaymo® un service médical rendu (SMR) important (et pas d'amélioration du SMR, ASMR V) dans le traitement de l'anémie hémolytique des patients adultes atteints de la maladie des agglutines froides ayant un taux d'Hb ≤ 10g/dl.

Enjaymo® est le seul médicament approuvé pour le traitement de la maladie des agglutinines froides . C'est le premier anticorps monoclonal humanisé conçu pour cibler et inhiber sélectivement la fraction C1 de la voie classique du complément, une composante du système immunitaire inné. En inhibant la fraction C1, Enjaymo® empêche l'activation de la cascade du complément du système immunitaire et inhibe l'hémolyse activée par le C1 caractéristique de la maladie des agglutinines froides

. Il empêche ainsi
la destruction anormale
des globules rouges sains. Enjaymo
®
inhibe uniquement
la
voie d'activation du complément
tout en
préserv
ant
l'activité immunitaire des 2 autres voies, la voie des lectines et la voie alterne
.

L'AMM d'Enjaymo® repose sur 2 études cliniques conduites chez des patients ayant un diagnostic confirmé de MAF, présentant une anémie hémolytique symptomatique avec un taux d' Hb ≤ 10 g/dl et un taux de bilirubine au-dessus des valeurs de référence à l'inclusion:

- L'étude CADENZA de phase III multicentrique, randomisée, en double aveugle, de supériorité, comparative versus placebo, de 26 semaines, dont l'objectif principal était de démontrer l'efficacité d'Enjaymo® sur l'anémie hémolytique via l'amélioration du taux d'Hb sans recours aux transfusions ou d'autres thérapies immunosuppressives chez 42 patients sans antécédents récents de transfusion. Les patients inclus n'avaient pas d'antécédents récents de transfusion (≤ 1 transfusion sanguine dans les 12 mois précédant l'inclusion et aucune transfusion dans les 6 mois précédant l'inclusion). L'étude a été prolongée par une phase de suivi en ouvert pendant 12 mois durant laquelle tous les patients recevaient Enjaymo
®
.

- L'étude CARDINAL de phase III multicentrique, en ouvert, non comparative, de 26 semaines, dont l'objectif principal était de démontrer l'efficacité d'Enjaymo® sur l'anémie hémolytique via l'amélioration du taux d'
Hb
sans recours aux transfusions ou d'autres thérapies immunosuppressives chez 24 patients. Les patients inclus devaient avoir des antécédents récents de transfusions sanguines. L'étude a été prolongée par une phase de suivi, en ouvert, pendant 24 mois supplémentaires.

Enjaymo* est inscrit sur la liste des spécialités agréées à l'usage des collectivités dans l'indication « traitement de l'anémie hémolytique des patients adultes atteints de la maladie des agglutinines froides, uniquement chez les patients ayant un taux d' Hb ≤ 10 g/dl » et aux posologies de l'AMM.
[3]

Enjaymo® 50 mg/ml en pratique

Enjaymo® se présente sous forme d'une solution pour perfusion. La dose recommandée dépend du poids. Pour les patients pesant de 39 kg à moins de 75 kg, la dose recommandée est de 6 500 mg et pour les patients pesant 75 kg ou plus, la dose recommandée est de 7 500 mg.

Enjaymo® doit être administré par voie intraveineuse une fois par semaine pendant les deux pr emières semaines et toutes les deux semaines par la suite.
Ce traitement
est destiné à une utilisation continue en tant que traitement chronique, sauf si l'arrêt s'avère cliniquement indiqué
.
Enjaymo
®
doit être administré par un professionnel de santé et sous la supervision d'un médecin expérimenté dans la prise en charge des patients atteints de troubles hématologiques

Sanofi développe des solutions pour réduire le délai entre les premiers symptômes et le diagnostic des maladies rares

En France, le délai moyen de diagnostic est de 2 à 3 ans, mais 25 % des malades restent en errance entre 5 et 15 ans. L'errance médicale qui en découle constitue une réelle perte de chance pour les patients. Le 29 février 2024 à l'occasion de la journée internationale des maladies rares sur le thème de l'équité, Sanofi a lancé
accelRare
®
, une solution d'intelligence artificielle « Made in France » dont la vocation est d'accélérer le pré-diagnostic de 270 maladies rares disposant d'un traitement ou d'une prise en charge. Cette solution digitale, 100% sécurisée et anonyme, est disponible en français et en anglais sur www.accelRare.com
.