Alnylam, entreprise leader dans le développement de traitements basés sur la technologie de l' ARN interférent (ARNi), a reçu ce jour le prestigieux prix Galien France dans le volet « Médicaments » et la catégorie « Médicaments de thérapie innovante ». Une récompense attribuée par un jury d'experts indépendants qui met à l ' honneur l'excellence médicale de demain.

Premier traitement ARNi à avoir été approuvé dans l'Union Européenne en 2018, ONPATTRO ® est indiqué chez les patients souffrant d ' amylose héréditaire à transthyrétine (hATTR) et atteints de polyneuropathie de stade I ou II.

Pour Antoine Barouky, Directeur Général d'Alnylam France : « Je tiens à remercier les jurés pour leur reconnaissance, qui témoigne de l'utilité de ces traitements ARNi et qui incitent à soutenir leur développement en France, notamment dans le contexte sanitaire actuel. Cette distinction de renommée mondiale dans le domaine de l'innovation pharmaceutique récompense en effet les

nombreux
travaux de recherche menés par
Alnylam
ces dernières
années
.
Des efforts et des investissements qui ont abouti à la création d
'
une nouvelle classe thérapeutique ayant le potentiel de transformer la vie des patients atteints de maladies rares
».

De nombreuses maladies rares, chroniques et menaçant le pronostic vital de milliers de personnes, comme l'amylose héréditaire, ont pour origine un défaut ou une mutation qui altère la manière dont le corps humain fabrique les protéines. En ciblant la synthèse de la protéine défectueuse à l 'origine de la maladie, plutôt qu'en traitant simplement ses symptômes,
l
'
ARNi
constitue une approche révolutionnaire, qui
transforme
les soins des patients
et
agit
concrètement sur
leur
qualité de vie et
leurs
activités quotidienne
s
.
Issus des travaux de recherche de lauréats du Prix Nobel
,
la technologie de l
'
ARNi
constitue
ainsi

un outil efficace et cliniquement validé pour le traitement d
'
un grand nombre de maladies sévères et invalidantes
.

En plus d'ONPATTRO®, approuvé dans l'Union européenne, aux États-Unis, au Canada, au Japon, au Brésil et en Suisse,
Alnylam
est à l
'
origine du médicament GIVLAARI
®
pour le traitement
des porphyries hépatiques aigues (PHA)
et
d
'
OXLUMO
™
indiqué pour traiter
l
'
hyperoxalurie
primitive de type
1. L
'
entreprise
possède
également
un vaste portefeuille de médicaments expérimentaux
, dont six produits candidats en phase finale de développement.

Pour découvrir l'ARNi en vidéo : https://www.youtube.com/watch?v=MtBcMch6P3w&feature=youtu.be

À propos du Prix Galien

Le prix Galien distingue des innovations en santé (toutes thérapeutiques confondues) remarquables, récentes et à disposition du public ainsi que des travaux de recherche emblématiques. Il contribue donc, notamment, à promouvoir et à dynamiser la recherche en santé et à encourager les laboratoires et les équipes qui la font avancer. Il honore des innovations d 'ex ception dans tous les domaines de la santé : médicament, dispositif médical, e-santé mais encore l
'
accompagnement du patient. Si le prestige du prix Galien s
'
est accru au fil des ans, c
'
est grâce aux membres
des
différents jurys
qui comptent d
'
éminents experts et spécialistes dans chaque catégorie. Ils ont

su, par leur choix de lauréats refléter fidèlement le mouvement thérapeutique en France depuis plus d
'
un demi-siècle et mettre en valeur les innovations et les équipes les plus performantes. La notoriété des membres du jury, leur rigueur scientifique, leur indépendance, a permis d
'
affirmer auprès du secteur de la santé et des Pouvoirs publics le caractère institutionnel du prix Galien.
prixgalien.fr

À propos d'Alnylam

Alnylam (Nasdaq : ALNY) dirige l'application de l'interférence par ARN (ARNi) à une toute nouvelle classe de médicaments innovants ayant le potentiel de transformer la vie des personnes atteintes de atteintes de maladies génétiques rares, cardio-métaboliques ou infectieuses hépatiques. Issues des travaux de recherche de lauréats du Prix Nobel, les thérapies par AR
Ni
constituent une approche importante et cliniquement validée pour le traitement d
'
un grand nombre de maladies graves et invalidantes. Tourné vers l
'
avenir,
Alnylam
continuera de mettre en
œ
uvre sa stratégie «
Alnylam
2020
», qui consiste à créer un laboratoire biopharmaceutique
multiproduits
, en phase de commercialisation, doté d
'
un pipeline durable de médicaments à base d
'
ARNi

pour répondre aux besoins des patients dont les options de traitement sont limitées ou inadéquates.
Alnylam
emploie plus de 1200
personnes dans le monde et son siège social est situé à Cambridge, Massachussetts, aux
É
tats-Unis.
alnylam.com

À propos de l'amylose hATTR

L'amylose héréditaire à transthyrétine (hATTR) est une maladie héréditaire, progressivement invalidante et mettant en jeu le pronostic vital, provoquée par des mutations du gène TTR. La protéine TTR, essentiellement produite dans le foie, est normalement chargée du transport de la vitamine A. Les mutations du gène TTR provoquent une accumulation anormale de protéines amyloïdes qui endommagent les organes et tissus de l
'
organisme, tels que les nerfs périphériques et le c
œ
ur, entraînant une neuropathie sensitive périphérique incurable, une neuropathie autonome et/ou une cardiomyopathie, ainsi que d
'
autres manifestations de la maladie. L
'
amylose
hATTR
représente un besoin médical majeur non satisfait avec une morbidité et
une mortalité importantes
, affectant environ 50 000 personnes dans le monde. La survie médiane est de 4,7 ans après le diagnostic, avec une survie réduite (3,4 ans) pour les patients présentant une cardiomyopathie. En Europe, les options de traitement susceptibles de modifier l
'
évolution de la maladie sont limitées.