Alnylam et Sanofi Genzyme annoncent des résultats positifs pour la phase 2 en cours de son étude de prolongation ouverte avec le Fitusiran, agent thérapeutique expérimental basé sur l'ARNi, auprès de patients atteints d'hémophilie A et B avec ou sans inhibiteurs

Alnylam Pharmaceuticals, Inc. (Nasdaq: ALNY), la société de pointe développant des agents thérapeutiques basés sur l'ARN interférent (ARNi), et Sanofi Genzyme, entité mondiale spécialisée dans le développement de médicaments de spécialité de Sanofi, ont annoncé aujourd'hui de nouveaux résultats positifs pour la phase 2 en cours de son étude de prolongation ouverte avec le Fitusiran, auprès de patients atteints d'hémophilie A et B, avec et sans inhibiteurs (N=33).

Ces résultats ont été dévoilés aujourd'hui lors d'une présentation orale au Congrès International organisé par la Société internationale sur la thrombose et l'hémostase (ISTH) qui se tient à Berlin, du 8 au 13 juillet 2017. Le Fitusiran est un agent thérapeutique expérimental basé sur l'ARN interférent qui cible l'anti thrombine (AT) pour traiter les patients atteints d'hémophilie A et BÂ ; il est conçu pour réduire les niveaux d'AT et ainsi favoriser une production suffisante de thrombine lors de l'activation de la cascade de coagulation pour rétablir l'hémostase et prévenir les saignements.

Les deux entreprises ont également annoncé que les résultats des essais cliniques de la phase 1 mettent en évidence un niveau préliminaire de sécurité et de tolérance encourageant et apportent des premières preuves que l'administration mensuelle par voie sous-cutanée de

Fitusiran diminue les niveaux d'AT et favorise la production accrue de thrombine chez les patients atteints d'hémophilie A et B sans inhibiteurs.Â Ces résultats ont été publiés en ligne aujourd'hui et apparaîtront dans le numéro imprimé de *The New England Journal of Medicine* (NEJM) daté du 7 octobre 2017.