



## **Alnylam remporte le prestigieux Prix Galien Canada – Produit innovateur avec ONPATTRO® (patisiran), le tout premier traitement à base d’ARN interférent approuvé par Santé Canada**

*Le prix reconnaît la contribution d’ONPATTRO au bien-être des patients atteints d’amylose à transthyrétine (ATTR) héréditaire.*

**Mississauga (Ontario), le 17 mars 2021** – [Alnylam Pharmaceuticals, Inc.](https://www.alnylam.com) (Nasdaq : ALNY) a annoncé aujourd’hui qu’ONPATTRO® (patisiran), issu d’une découverte digne d’un prix Nobel de science, a remporté le Prix Galien Canada 2021 – Produit innovation. Ce prix, remis le mercredi 17 mars, récompense une entreprise ayant mis au point un médicament lancé sur le marché canadien qui a apporté la contribution globale la plus importante au bien-être des patients sur les plans de l’efficacité, de l’innocuité, des bienfaits et de l’innovation.

« L’amylose à transthyrétine (ATTR) héréditaire peut devenir extrêmement invalidante et entraîne fréquemment un décès prématuré. Par conséquent, le fait de disposer d’un traitement susceptible d’inverser le cours de la maladie peut transformer la vie des patients, a déclaré Colleen Coxson, directrice générale nationale d’Alnylam. ONPATTRO est notre premier produit à être lancé au Canada; selon nous, il marquera l’histoire à plusieurs égards, notamment en jetant les bases d’une toute nouvelle génération de médicaments, les traitements à base d’ARNi. Par ailleurs, ce n’est que le début; de nombreuses grandes innovations attendent Alnylam ces prochaines années, alors qu’il nous tarde d’exploiter davantage la puissance de l’interférence ARN. »

L’ATTR héréditaire est une maladie évolutive multisystémique, causée par des mutations génétiques qui dérèglent la façon dont le foie produit une protéine particulière. Aussi appelée « silençage génique », l’interférence ARN est une nouvelle approche au traitement de la maladie, car elle cible la protéine défectueuse à l’origine de l’amylose transthyrétine héréditaire. ONPATTRO est le seul traitement ayant procuré une amélioration démontrée des scores de polyneuropathie et de qualité de vie chez des patients atteints d’ATTR héréditaire, par rapport aux valeurs de départ<sup>1,2</sup>.

« ONPATTRO est une technologie innovante, sûre et efficace qui permet de traiter une maladie très rare pour laquelle les moyens thérapeutiques sont limités et qui est digne du Prix Galien 2020 », a déclaré le D<sup>r</sup> Jean Gray, membre du Temple de la renommée médicale canadienne, lors de la cérémonie de remise du Prix Galien Canada.

Pour ONPATTRO, il s’agit du cinquième Prix Galien, après avoir remporté le Prix 2020 du meilleur nouveau médicament en France et le Prix Galien 2019 et 2020 du meilleur produit biotechnologique aux États-Unis, en Italie et aux Pays-Bas.

### **À propos d’ONPATTRO (patisiran)**

Le patisiran est un médicament constitué d’acide ribonucléique (ARN) interférent qui cible la transthyrétine; il est administré par voie intraveineuse pour le traitement de la polyneuropathie chez les patients atteints d’ATTR héréditaire. Conçu pour cibler et inhiber l’expression de l’ARN messager spécifique de la transthyrétine, il bloque la production de cette protéine dans le foie. En diminuant les dépôts de transthyrétine dans les tissus, le patisiran permet de stopper, voire d’inverser, le cours de la maladie<sup>3</sup>.

### **À propos de l’ATTR héréditaire<sup>4</sup>**

L’amylose à transthyrétine (ATTR) héréditaire est une maladie génétique progressivement invalidante et souvent mortelle causée par des mutations dans le gène d’une protéine, la transthyrétine. La transthyrétine est en grande partie produite par le foie et agit normalement comme transporteur de la vitamine A. Les

mutations dans le gène transthyréine induisent une accumulation de protéines amyloïdes anormales dans les organes et les tissus, en particulier les nerfs périphériques et le cœur, causant diverses manifestations pathologiques réfractaires, entre autres la neuropathie périphérique sensori-motrice, la neuropathie autonome et la cardiomyopathie. L'ATTR héréditaire représente un besoin médical majeur jusqu'ici non comblé, et cause une morbidité importante chez les quelque 50 000 personnes qui en sont atteintes dans le monde. La survie médiane est de 4,7 ans après le diagnostic, cette période se réduisant à 3,4 ans dans le cas des patients qui présentent une cardiomyopathie.

### À propos de l'interférence ARN

L'interférence ARN, un processus cellulaire naturel de silençage génique, est un domaine de recherche émergent de la biologie qui évolue rapidement et qui s'avère prometteur pour le développement de médicaments ayant le potentiel de transformer le soin des patients atteints de maladies génétiques ou autres. Cette avancée majeure a été récompensée en 2006 par le prix Nobel de physiologie ou médecine.

### À propos d'Alnylam Pharmaceuticals

Alnylam (Nasdaq : ALNY) est la première entreprise à appliquer la technique de l'interférence ARN au développement d'une nouvelle classe de médicaments innovants ayant le potentiel d'améliorer la vie des personnes atteintes de maladies génétiques rares, d'affections cardio-métaboliques, d'hépatopathies infectieuses et de troubles du système nerveux central. Reposant sur des recherches scientifiques récompensées par un prix Nobel, les traitements d'interférence ARN constituent une approche probante et validée cliniquement pour le traitement d'un large éventail de maladies graves et invalidantes. Fondée en 2002, Alnylam propose une vision audacieuse selon laquelle les possibilités scientifiques peuvent devenir une réalité en s'appuyant sur une solide plateforme de découvertes. Alnylam dispose d'un vaste portefeuille de médicaments expérimentaux, notamment cinq produits candidats actuellement évalués dans le cadre d'essais cliniques de phase III et un médicament en cours d'homologation. Résolument tournée vers l'avenir, Alnylam continuera d'appliquer sa stratégie « Alnylam 2020 », soit la création d'une société biopharmaceutique de multiproduits au stade commercial, dotée d'un portefeuille de médicaments candidats basés sur l'interférence ARN, afin de répondre aux besoins des patients chez qui les options thérapeutiques sont limitées ou inadéquates. Alnylam emploie plus de 1 200 personnes dans le monde. Le siège de la société se trouve à Cambridge, au Massachusetts. Le siège social d'Alnylam Canada est situé à Mississauga, en Ontario, où il a commencé ses activités en juin 2018.

###

#### Personnes-ressources pour les médias :

Alnylam Pharmaceuticals, Inc.  
Fiona McMillan  
[fmcmillan@alnylam.com](mailto:fmcmillan@alnylam.com)  
+44 1628 244 960

Proof Strategies  
Sydney Dubin  
[sdubin@getproof.com](mailto:sdubin@getproof.com)  
416-969-2816

---

1 Adams *et al.* Patisiran, an RNAi Therapeutic, for Hereditary Transthyretin Amyloidosis. *New England Journal of Medicine*, 379:11-21, 5 juillet 2018.

2 Monographie du patisiran, Alnylam Pharmaceuticals Inc. 7 juin 2019.

3 Adams *et al.* Patisiran, an RNAi Therapeutic, for Hereditary Transthyretin Amyloidosis. *New England Journal of Medicine*, 379:11-21, 5 juillet 2018.

4 The American Journal of Managed Care <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/28978215/>. Consulté le 17 juin 2019.