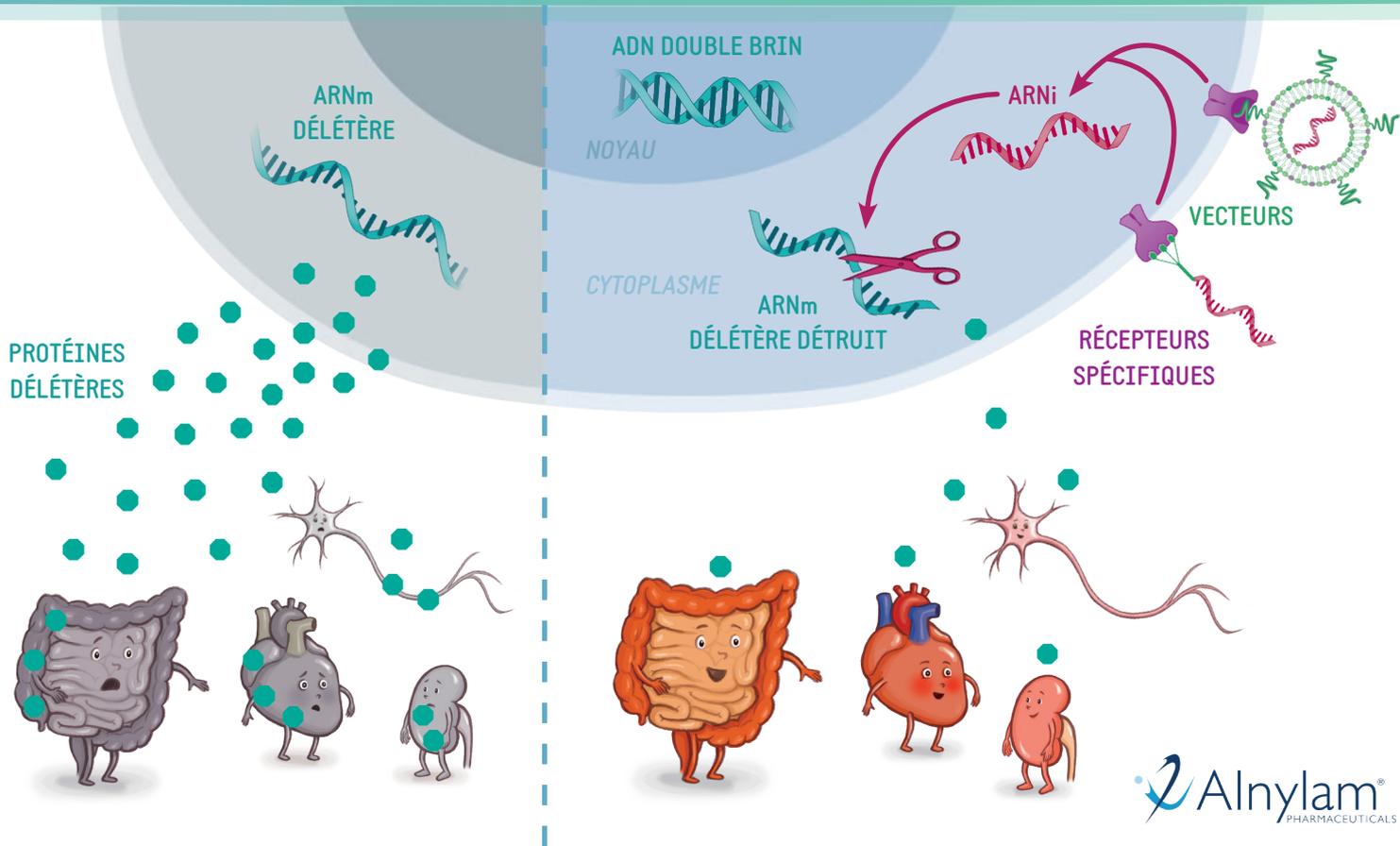


Les ARN interférents (ARNi) :

Une action thérapeutique à la source de la maladie



L'ARN interférent : une stratégie thérapeutique innovante

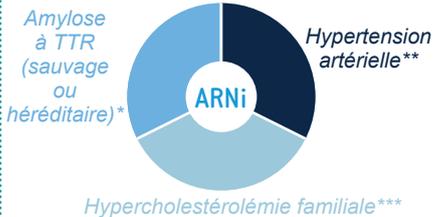
- Les ARN interférents (ARNi) sont de petits acides ribonucléiques double-brins, présentant une séquence nucléotidique complémentaire à celle d'un **ARN messager (ARNm) cible**¹.
- Dans la nature, ils sont impliqués dans un processus biologique appelé « **ARN interférence** », supprimant sélectivement l'expression de gènes cibles, considérés comme « indésirables »¹.
- Utilisés à des fins thérapeutiques, les ARNi thérapeutiques **miment** le processus naturel de l'ARN interférence pour **bloquer spécifiquement** la production de protéines délétères, responsable de nombreuses pathologies¹.

L'ARNi EN CARDIOLOGIE²

• Vers un changement de paradigme :

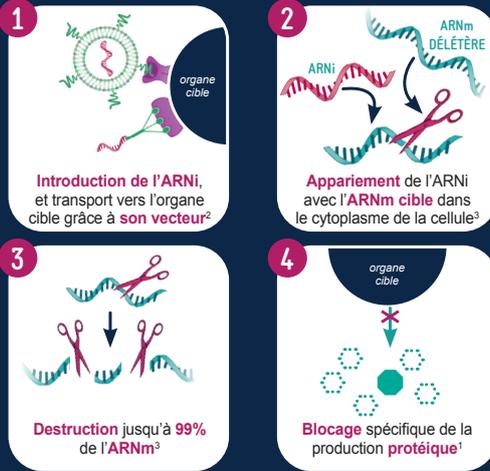
→ Cette approche cliniquement validée a le potentiel de **transformer** le traitement de patients ayant des options **limitées ou inadéquates**.

→ L'ARNi change le paradigme de la prise en charge de certaines maladies cardiovasculaires grâce à des **injections sous-cutanées** tous les **3 à 6 mois**.



*En phase III - **Phase précoce - ***En partenariat avec un autre laboratoire

MECANISME D'ACTION



CLASSE DES ARNi THÉRAPEUTIQUES^{1,4}

- 🎯 → **SPÉCIFICITÉ** : Chaque ARNi dégrade **spécifiquement** l'ARNm cible, pour inactiver **sélectivement** le gène « indésirable ».
- 👉 → **ACTION EN AMONT** : L'ARNi agit à la source de la cascade physiopathologique afin de limiter les symptômes, surtout s'il est **initié précocément**.
- ↺ → **RÉVERSIBILITÉ** : Les ARNi ont un mode d'action réversible, la durée d'action étant variable d'un ARNi à un autre.
- 👥 → **REPRODUCTIBILITÉ** : L'ARNi représente un espoir thérapeutique pour un **grand nombre de pathologies liées à la production de protéines délétères**.
- 😊 → **TOLÉRANCE** : En raison de sa vectorisation et de sa spécificité d'action, l'ARNi **limite les effets secondaires**.

1. <https://www.alnylam.com/our-science/the-science-of-mai/>

2. siRNA conjugates carrying sequentially assembled trivalent N-acetylglucosamine linked through nucleosides elicit robust gene silencing in vivo in hepatocytes Matsuda et al., ACS Chem Biol. 2015.

3. Bumcrot D, Manoharan M, Kotliansky V, Sah DW. RNAi therapeutics: a potential new class of pharmaceutical drugs. Nat Chem Biol. 2006;2(12):711-719.

4. Saw, P. E., & Song, E.-W. (2019). siRNA therapeutics: a clinical reality. Science China Life Sciences.

Si vous ne souhaitez plus recevoir les cartes Amylose hATTR, veuillez nous adresser un e-mail à : info@alnylam.fr.

NP-FRA-00230 - Novembre 2021. Alnylam France SAS, et les autres entités de Alnylam, agissant en tant que responsables de traitement, traiteront de manière indépendante vos données à caractère personnel pour répondre à leurs besoins professionnels légitimes, pour remplir leurs obligations contractuelles ainsi que pour se conformer à leurs obligations légales et réglementaires (par exemple aux fins de divulgation de transparence). À cet égard, Alnylam transfèrera vos données personnelles à des tiers prestataires de services, agissant en tant que responsables du traitement de données pour le compte d'Alnylam, ainsi qu'à tout organisme réglementaire ou gouvernemental et à toute autorité compétente habilitée à les recevoir. Ces tiers ou destinataires seront situés à l'intérieur ou à l'extérieur de l'Espace Économique Européen. Dans ce cas, Alnylam mettra en place les garanties appropriées pour assurer la pertinence et la sécurité du traitement de vos données à caractère personnel. Vous avez le droit d'accéder, de compléter ou de rectifier les informations qui vous concernent en envoyant une demande par courrier électronique à EUdataprivacy@alnylam.com. Vous pouvez également, sous certaines conditions, vous opposer au traitement de vos données à caractère personnel - sauf lorsque ces données sont utilisées dans le cadre des obligations d'Alnylam en matière de transparence telles que prévues à l'article L.1453-1 du code de la santé publique -, ou demander l'effacement ou la portabilité de vos données. Pour plus d'informations sur les pratiques d'Alnylam en matière de confidentialité, veuillez lire notre politique de confidentialité figurant sur notre site Internet <https://www.alnylam.com/alnylam-france/>.