

Contatti:**Alnylam Italy S.r.l**

Claudia Cravesana

(Medical Director Italy)

+39 0289732286

**Approvato anche in Italia****ONPATTRO® (patisiran) per il trattamento dell'Amiloidosi Ereditaria da Transtiretina (hATTR) in adulti con polineuropatia in stadio 1 o stadio 2**

Si tratta del primo agente terapeutico sviluppato sulla base della tecnologia RNA Interference che, sfruttando un meccanismo cellulare naturale, consente il silenziamento di specifiche proteine patogenetiche.

Milano, 06 Febbraio 2020 –L'RNAi è un meccanismo naturale di silenziamento genico che rappresenta, oggi, una delle frontiere più promettenti e in rapido avanzamento nel campo della biologia e dello sviluppo dei farmaci.

La sua scoperta, nata da una ricerca scientifica insignita del Premio Nobel per la Fisiologia e la Medicina nel 2006, ha segnato, di fatto, un punto di svolta nella comprensione dei meccanismi di espressione o silenziamento dell'informazione genetica nelle cellule e da essa si è sviluppata una nuova classe di medicinali, chiamati agenti terapeutici RNAi. I farmaci RNAi agiscono diversamente rispetto ai medicinali odierni, andando a silenziare l'RNA messaggero (mRNA), impedendo l'espressione genica e bloccando così la produzione della proteina bersaglio. Un approccio rivoluzionario che consente di "spegnere" la produzione di proteine target alla fonte, anziché affrontarne gli effetti.

ONPATTRO® (patisiran) è il primo agente terapeutico RNAi approvato al mondo, disponibile ora anche in Italia, sviluppato da Alnylam Pharmaceuticals, azienda leader nella traslazione dell'interferenza dell'RNA in una nuova classe di farmaci per pazienti con opzioni terapeutiche limitate o inadeguate e indicato per il trattamento dei pazienti adulti affetti da amiloidosi ereditaria da transtiretina (amiloidosi hATTR) con polineuropatia in stadio 1 o stadio 2.

L'amiloidosi hATTR è una patologia autosomica dominante, provocata da mutazioni nel gene della transtiretina (TTR), proteina sintetizzata principalmente a livello epatico che funge da carrier alla tiroxina e al retinolo. È infatti dal 'misfolding' della molecola che deriva la TTR anomala che, precipitando in forma di fibrille amiloidi insolubili a livello di nervi, cuore e tratto gastrointestinale, determina un danno progressivo ai tessuti e disfunzione d'organo. Patisiran, ha come bersaglio proprio la transtiretina (TTR): il suo meccanismo d'azione è mirato a silenziare uno specifico RNA messaggero, bloccando la produzione di transtiretina nel fegato e riducendone l'accumulo nei tessuti, con l'obiettivo terapeutico di arrestare o far regredire le manifestazioni cliniche della malattia.

«La disponibilità di patisiran è una bellissima notizia perché adesso potranno accedere a un trattamento estremamente efficace tutti i pazienti con questa forma di amiloidosi a interessamento neurologico in stadio 1 e 2, cioè coloro che sono in grado di deambulare senza assistenza o con

un supporto di un bastone o di una o due stampelle – precisa la Dott.ssa Laura Obici, Centro per lo Studio e la cura delle Amiloidosi Sistemiche del Policlinico San Matteo di Pavia –. Patisiran si è dimostrato capace di bloccare la progressione della neuropatia e in alcuni casi anche di migliorare i parametri funzionali. Da oltre un anno, attraverso la disponibilità alla fornitura garantita da Alnylam secondo la normativa dell'uso compassionevole è stato possibile un accesso anticipato a diversi pazienti che avevano una relativa maggiore urgenza di poter usufruire di questo tipo di terapia. Nel corso di tutto questo lungo periodo di esperienza, non abbiamo avuto alcun evento avverso che possiamo imputare alla terapia».

«Alnylam Pharmaceuticals è, da sempre, in prima linea nell'innovazione terapeutica – dichiara Massimo Bertelli, General Manager, Alnylam Italia – e fin dalla sua fondazione ha avuto l'ambizione di trasformare in realtà terapeutiche una scoperta scientifica, come l'RNAi. L'Italia rappresenta un Paese chiave per la ricerca di Alnylam e per la fase di sperimentazione clinica delle terapie a base di RNAi. ».

Amiloidosi hATTR

L'amiloidosi hATTR è una malattia genetica rara, progressivamente debilitante che spesso esordisce anche in giovane età, con un impatto importante sulla vita dei pazienti e delle loro famiglie. A causa della rapida progressione naturale della malattia, è fondamentale una diagnosi precoce e accurata. I sintomi, che compaiono di norma dopo i 45 anni, si manifestano principalmente come neuropatia motoria, sensoriale e autonoma e cardiomiopatia.

Secondo le stime più recenti, nel mondo, circa 50.000 persone, vivono con una polineuropatia e/o una cardiomiopatia da hATTR. I numerosi genotipi alla base dell'amiloidosi hATTR determinano l'elevata eterogeneità fenotipica di una malattia nella quale l'insorgenza dei sintomi varia anche all'interno della stessa mutazione.

Alnylam Pharmaceuticals

Alnylam (Nasdaq: ALNY) è leader nella traslazione dell'interferenza dell'RNA (RNAi) in una nuova classe di farmaci innovativi che possono trasformare la vita delle persone affette da malattie genetiche rare, cardiometaboliche, epatiche infettive, del sistema nervoso centrale (SNC) e oculari. Il primo agente terapeutico RNAi di Alnylam è ONPATRO® (patisiran), approvato negli Stati Uniti, nell'UE, in Canada e in Giappone. Alnylam dispone di una pipeline di farmaci in fase di sperimentazione in diverse aree terapeutiche. Guardando al futuro, Alnylam continuerà ad attuare la sua strategia "Alnylam 2020" per diventare un'azienda biofarmaceutica multi-prodotto a livello commerciale, con una pipeline sostenibile di medicinali basati sulla RNAi destinati ai pazienti con opzioni di trattamento limitate o inadeguate. Con sede a Cambridge, MA, Alnylam impiega oltre 1.200 persone in tutto il mondo.

###

Per informazioni:

Ufficio Stampa Alnylam Italia

Weber Shandwick

Cristiana Ciofalo, T +39 02 57378574 – M +39 348. 4401822, cciofalo@webershandwickitalia.it

Federica Bologna, T +39 02 57378402 – M +39 342 9229541, fbologna@webershandwickitalia.it

TTR02-ITA-00032