



ARN*i*

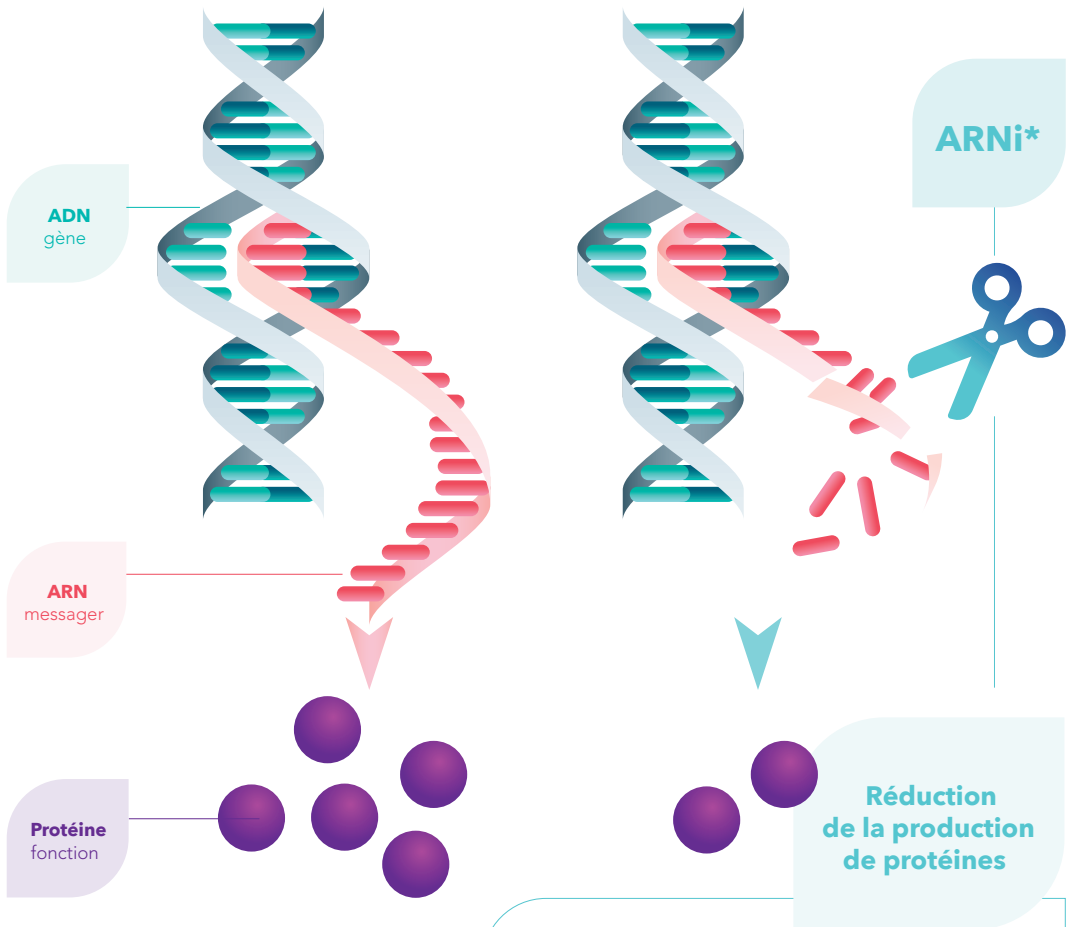
Vous êtes un patient traité par un nouveau médicament fondé sur la technologie de l'**ARN interférence**.

Ce document a pour objectif de vous expliquer comment votre médicament appelé « ARN interférent » fonctionne.

PROCESSUS **NORMAL**

Du **code génétique**
à la **protéine**

L'**ARN interférence**
comme régulateur naturel



* L'**ARN interférence** (dit « **ARNi** ») est un processus naturel présent chez tous les êtres humains. Il permet à l'organisme de **reconnaître certains ARN messagers et de les détruire** pour qu'ils ne puissent pas servir à la production de protéines. L'ARNi réduit ainsi le nombre de protéines produites.

PROCESSUS **PATHOLOGIQUE**

Rôle de l'**ARN interférent** **thérapeutique**



Production
de protéines
dysfonctionnelles
ou en excès
à l'origine de
certaines maladies



Réduction
à la source de
la production
de protéines
dysfonctionnelles
ou produites en
excès

Les médicaments par **ARN interférence**²

Il existe des traitements qui utilisent la technologie de l'ARN interférence : on parle alors d'« **ARN interférent thérapeutique** ». L'ARNi thérapeutique est associé à un composé qu'on appelle « **vecteur** » afin de **cibler directement** le lieu de production de la protéine anormale ou produite en excès. L'ARNi va ainsi spécifiquement détruire l'ARN messager défectueux à l'origine de ces protéines.

Cette découverte a été récompensée par un prix Nobel en 2006. Elle permet de proposer des solutions thérapeutiques pour des pathologies où il n'existe pas ou peu de traitements adaptés. Actuellement, plusieurs traitements par ARN interférence ciblant des protéines produites dans le foie sont disponibles.

Aujourd'hui, Alnylam a mis en place plus de 35 études cliniques avec ARN interférent thérapeutique.³

Quatre ARN interférents développés par Alnylam ont reçu l'autorisation de mise sur le marché aux Etats-Unis et en Europe.³

Certains patients ont reçu leur ARN interférent depuis plus de 8 ans.³

2. Wittrup A, Lieberman J. Knocking down disease: a progress report on siRNA therapeutics. Nat Rev Genet. 2015;16(9):543-552

3. www.alnylam.fr

Notre organisme produit des **protéines**. Ces protéines possèdent chacune un **rôle bien défini dans le fonctionnement** du corps humain.

L' **ADN (ou gène)** porte une information appelée le « code génétique», et est copié en **un « ARN messenger » ou « ARNm »**. Comme son nom l'indique, l'ARNm est le messenger qui transmet les instructions. **L'ARNm est lu et traduit pour produire une protéine spécifique**, qui va exercer une fonction particulière dans l'organisme.

Dans certaines maladies, un gène est modifié. L'**ARNm** est alors lui aussi modifié et anormal. Les protéines concernées peuvent alors être dysfonctionnelles ou produites en excès. L'**ARN interférent** peut agir pour corriger ces processus anormaux responsables de certaines maladies génétiques.

Vrai ou Faux sur les **médicaments ARNi**

Les traitements par ARNi sont assimilés à de la thérapie génique.

FAUX

Les traitements par ARN interférence ciblent les ARN messagers de protéines surproduites dans certaines pathologies. L'ARN interférence est un processus naturel de l'organisme. Cela n'entraîne aucune modification du code génétique.

L'action des médicaments ARNi est irréversible.

FAUX

L'effet du médicament sur l'ARN messager n'est actif que pendant la durée du traitement.

Les médicaments ARNi sont fabriqués à partir de cellules humaines vivantes.

FAUX

Les médicaments ARNi sont synthétisés chimiquement, sans utilisation de tissus humains ou animaux.

ARN, acide ribonucléique ; ARNm, ARN messager ; ARNi, ARN interférent ; ADN, acide désoxyribonucléique

NP-FRA-00238 - Janvier 2022 - © Tous droits réservés Alnylam France, SAS au capital de 10 000 euros, RCS 818 575 730

100-102 avenue de Suffren, 75015 Paris, Information Médicale : medinfo@alnylam.com

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 transférera 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 Economique 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/>.