

Alnylam Pharmaceuticals – Pioniere einer neuen Ära der Biomedizin

Nutzung von RNA-Interferenz - eine Revolution in der Biomedizin

Alnylam ist das weltweit führende Biopharma-Unternehmen in der Erforschung und Entwicklung innovativer Arzneimittel auf Grundlage der Nobelpreis-prämierten Entdeckung der RNA-Interferenz. Die RNA-Interferenz (RNAi) ist ein natürlicher Mechanismus in Zellen, mit dem sich einzelne Gene gezielt „herunterregeln“ lassen. Das Prinzip der RNA-Interferenz ermöglicht eine völlig neue Klasse von innovativen Medikamenten, die das Leben von Patienten mit eingeschränkten oder unzureichenden Behandlungsmöglichkeiten verändern können. Alnylam baut daher eine robuste und fortwährende Produkt-Pipeline von RNAi-basierten Arzneimitteln auf.

Alnylam wurde 2002 in Cambridge (Massachusetts, USA) mit der kühnen Vision gegründet, die wissenschaftlichen Durchbrüche im Bereich der RNAi für Patienten nutzbar zu machen. Heute beschäftigt Alnylam weltweit mehr als 1.000 Mitarbeiter. Seit seiner Gründung hat Alnylam mehr als drei Milliarden US-Dollar in die Forschung und Entwicklung investiert. Trotz einiger hoher Hürden und wiederholter Rückschläge hat das Unternehmen die Herausforderung angenommen und weiter leidenschaftlich an seiner Vision gearbeitet, RNAi-Therapeutika für Patienten nutzbar zu machen.

Heute wächst das Unternehmen rapide, auch in Europa. Die deutsche Niederlassung von Alnylam befindet sich in München.

Vom Nobelpreis zur Anwendungsreife

Die Entdeckung der sogenannten RNA-Interferenz war ein wissenschaftlicher Durchbruch für das Verständnis von der Funktionsweise von Genen in Zellen. Im Jahr 2006 wurde die Entdeckung der RNAi mit dem Nobelpreis für Medizin ausgezeichnet. RNAi-Therapeutika gelten heute als eine der vielversprechendsten und sich am schnellsten entwickelnden Produktklassen und revolutionieren die Behandlung von Erkrankungen. Alnylam hat sich dieser medizinischen Revolution verschrieben und dank kontinuierlicher Arbeit die RNAi zu einer realen Behandlungsmöglichkeit entwickelt für Erkrankungen, für die bislang keine oder nur unzureichende Therapieoptionen verfügbar sind.

Aufbau einer robusten Produkt-Pipeline

Medikamente aus der RNAi-Therapeutika-Plattform von Alnylam haben das Potential zur Schließung wesentlicher Lücken von gegenwärtig verfügbaren Therapien. Alnylam baut deshalb eine robuste und fortwährende Pipeline von RNAi-Therapeutika auf. Schwerpunkte der Entwicklung liegen in den vier strategischen Therapiebereichen genetische Krankheiten, Herz- und Stoffwechselkrankheiten, Infektionskrankheiten der Leber und Erkrankungen des zentralen Nervensystems (ZNS) sowie Augenerkrankungen.

Das weltweit erste Arzneimittel auf RNAi-Basis wurde 2018 in den USA und Europa zugelassen. Ende 2019 bzw. im März 2020 folgte die zweite Zulassung:

- **Patisiran** zur Behandlung von hATTR-Amyloidose bei Erwachsenen mit Polyneuropathie im Stadium 1 oder 2
- **Givosiran** zur Behandlung der akuten hepatischen Porphyrie bei Erwachsenen und Jugendlichen ab 12 Jahren

Weitere Produktkandidaten befinden sich in späten Entwicklungsphasen:

- **Lumasiran**: Primäre Hyperoxalurie Typ 1 (Zulassung beantragt)
- **Fitusiran**: Hämophilie und weitere seltene Blutungserkrankungen (klinische Phase III)
- **Inclisiran**: Hypercholesterinämie (klinische Phase III)

Die Alnylam Produkt-Pipeline in der klinischen Entwicklung

Vier strategische Therapiebereiche:

- Genetische Medikamente
- Hepatische Infektionskrankheiten
- Herz- und Stoffwechselkrankheiten
- ZNS / Augenerkrankungen

		POC BEIM MENSCHEN ¹	THERAPIE-DURCHBRUCH	FRÜHE PHASE (Einreichungsphase 2 IND oder CTA)	SPÄTE PHASE (Phase 2 bis Phase 3)	REGISTRIERUNG/VERTRIEB ³	GEWERBLICHE RECHTE
Patisiran ²	Hereditäre ATTR-(hATTR)-Amyloidose					●	Weltweit
Givosiran ⁵	Akute hepatische Porphyrien					●	Weltweit
Lumasiran	Primäre Hyperoxalurie Typ 1					●	Weltweit
Inclisiran	Hypercholesterinämie					●	Meilensteine und bis zu 20 % Zahlungen aus Umsatzbeteiligungen
Patisiran	ATTR-Amyloidose Zulassungserweiterung				●		Weltweit
Fitusiran	Hämophilie und weitere seltene Blutungserkrankungen				●		15-30 % Zahlungen aus Umsatzbeteiligungen
Vutrisiran	ATTR-Amyloidose				●		Weltweit
Cemdisiran	Komplement-vermittelte Erkrankungen			●			50-50
Cemdisiran/ Pozelimab Combo ⁴	Komplement-vermittelte Erkrankungen			●			Meilensteine und Umsatzbeteiligungen
ALN-AAT02	Alpha-1 Lebererkrankung			●			Weltweit
ALN-HBV02 (VIR-2218)	Hepatitis B Virusinfektion			●			50-50 Optionsrechte post-Phase 2
ALN-AGT	Hypertonie			●			Weltweit

¹ POC (proof of concept) – definiert als das Vorhandensein eines Zielgen-Knockdowns und/oder zusätzlicher Aktivitätsnachweise in klinischen Studien.

² Zugelassen in der EU für die Behandlung von hATTR-Amyloidose bei Erwachsenen mit Polyneuropathie Stufe 1 oder Stufe 2.

³ Beinhaltet die Einreichung von Marketinganträgen.

⁴ Cemdisiran befindet sich derzeit in Phase 2 der Entwicklung und Pozelimab befindet sich derzeit in Phase 1 der Entwicklung; Alnylam und Regeneron evaluieren mögliche Kombinationen dieser beiden Studientherapeutika.

⁵ Zugelassen in der EU zur Behandlung erwachsener Patienten und Kindern ab 12 Jahren mit akuter hepatischer Porphyrie.

Stand: März 2020

Quelle: Pipeline-Darstellung übernommen von www.alnylam.com/alnylam-mai-pipeline und ins Deutsche übersetzt, letzter Zugriff: 31.03.2020

Unser Ziel: 2020

„Alnylam 2020“ steht für unsere angestrebte Entwicklung von einem Unternehmen für späte klinische Entwicklungsphasen zu einem kommerziellen Multiproduktunternehmen mit einer robusten und fortwährenden Pipeline von sich in der Erprobung befindenden Arzneimitteln – ein Profil, das in der biopharmazeutischen Branche bisher nur selten erreicht wurde.

Wir verfolgen unbeirrt die Entwicklung neuer Therapien, denn die Patienten verdienen deren Entdeckung.
Jeder Einzelne von ihnen.

Weitere Informationen zu unseren Mitarbeitern, unserer Wissenschaft und unserer Pipeline von sich in der Erprobung befindenden RNAi-Therapeutika finden Sie unter alnylam.com

Folgen Sie uns auch bei Twitter unter [@Alnylam](https://twitter.com/Alnylam) und bei [LinkedIn](https://www.linkedin.com/company/alnylam).