



Alnylam se dedica a desarrollar terapias nuevas que tienen un impacto positivo en la salud de los pacientes y a brindarles servicios a estos, a sus familias y sus comunidades a través de la educación, la empatía y la concientización.

En concordancia con la misión de Alnylam de ofrecer medicamentos innovadores a pacientes con enfermedades o afecciones graves o potencialmente mortales, nos centramos en llevar a cabo los ensayos clínicos necesarios para obtener las aprobaciones de las autoridades reguladoras para que nuestros medicamentos estén ampliamente disponibles para los pacientes lo antes posible. Nos enorgullece colaborar con los investigadores clínicos y los pacientes que participan en nuestros estudios para desarrollar terapias nuevas, seguras y eficaces. Al mismo tiempo, entendemos que hay pacientes gravemente enfermos que no serán elegibles para nuestros ensayos clínicos y que quizá no tengan opciones para terapias alternativas, incluidas las terapias en fase de investigación de ensayos realizados por otros patrocinadores. En estas circunstancias, Alnylam considerará la posibilidad de proporcionarle a un médico, que así lo solicite, el acceso a un fármaco en investigación específico de Alnylam para el tratamiento de un paciente individual fuera de un ensayo clínico cuando se cumplan determinadas condiciones. Estas condiciones incluyen, entre otras, las siguientes:

- El paciente tiene una enfermedad o afección grave o potencialmente mortal y ya no responde o no puede tolerar ninguna opción de tratamiento disponible.
- El fármaco en investigación está en desarrollo clínico activo o tiene al menos una autorización de comercialización activa con suficientes datos disponibles para determinar una dosis y un cronograma adecuados para la afección específica del paciente.
- Un análisis de riesgos y beneficios, basado en los datos clínicos disponibles, así como en la evaluación, por parte del médico solicitante, de la afección y los antecedentes del paciente individual, respalda la disponibilidad del fármaco en investigación.
- Poner el fármaco en investigación a disposición, no afectará negativamente ni retrasará de manera significativa la realización de ensayos clínicos, ni la revisión reguladora o la aprobación del fármaco en investigación para un acceso más amplio de los pacientes.
- Se dispone de un suministro adecuado del fármaco en investigación.

Evaluamos continuamente el perfil de riesgo-beneficio de cada uno de nuestros fármacos en investigación en función de los datos clínicos en evolución. Cada compuesto es diferente y Alnylam puede decidir no poner a disposición un fármaco en investigación conforme a esta política. Además, el hecho de que un fármaco en investigación esté disponible para el tratamiento de un paciente concreto no significa que esté disponible en respuesta a solicitudes de otros pacientes cuyas circunstancias y antecedentes médicos podrían ser diferentes. Las solicitudes se considerarán caso por caso.

Alnylam se compromete a evaluar todas las solicitudes de forma justa y equitativa. El médico responsable de la atención del paciente debe enviar todas las solicitudes y Alnylam puede requerir información médica más detallada para evaluar una solicitud de manera completa. El médico solicitante debe aceptar obtener las aprobaciones pertinentes de los comités reguladores y de ética, y cumplir con las obligaciones reguladoras, incluida la obtención del consentimiento del paciente, el monitoreo del paciente y el informe de seguridad. Alnylam, cuyas decisiones son concluyentes, considerará detenidamente cada solicitud.

Los médicos que buscan acceso a los medicamentos en investigación de Alnylam para pacientes sin opciones alternativas de tratamiento, deben enviar sus solicitudes a <https://alnylam-compassionateuse.steeprochinc.com/>. Alnylam monitoreará regularmente este buzón de correo y hará todo lo posible para acusar recibo de cada solicitud enviada en el plazo de 3 días hábiles tras la recepción.