



COMMUNIQUÉ DE PRESSE

Collectis a soumis une demande d'essais cliniques pour UCART123 un produit allogénique fondé sur des cellules CART ingénierées ciblant des tumeurs hématologiques (LAM et LpDC)

Le 3 janvier 2017 – New York (N.Y.) – Collectis (Alternext: ALCLS; Nasdaq: CLLS), société biopharmaceutique spécialisée dans le développement d'immunothérapies fondées sur des cellules CAR-T ingénierées (UCART), annonce aujourd'hui avoir soumis une demande d'essais cliniques (*Investigational New Drug* ou IND) auprès de l'*U.S. Food and Drug Administration* (FDA) sollicitant l'approbation pour initier les études cliniques de Phase 1 pour UCART123. UCART123 est un produit candidat exclusivement détenu par Collectis, ingénieré grâce à la technologie d'édition du génome TALEN®, ciblant la leucémie aiguë myéloblastique (LAM) et de leucémie à cellules dendritiques plasmacytoïdes (LpDC).

Sous réserve des approbations réglementaires, Collectis prévoit d'initier les études de Phase 1 au cours du premier semestre 2017. Il s'agit de la première demande d'essais cliniques aux Etats-Unis pour un produit candidat allogénique "sur étagère" issu de l'édition de gènes.

Le programme UCART123 a fait l'objet d'une audition publique auprès du Comité Consultatif sur l'ADN Recombinant (RAC) du National Institutes of Health (NIH) en décembre 2016 et a reçu l'approbation unanime des membres du comité.

UCART123 est un médicament expérimental fondé sur des cellules T ingénierées ciblant l'antigène CD123, exprimé à la surface des cellules tumorales dans des pathologies telles que la leucémie aiguë myéloblastique (LAM) et la leucémie à cellules dendritiques plasmacytoïdes (LpDC).

La leucémie aiguë myéloblastique (LAM) est due à la prolifération incontrôlée de cellules immatures tumorales s'accumulant dans la moelle osseuse et parfois dans le sang. La moelle osseuse de ce fait n'est plus en mesure d'assurer la production de cellules sanguines normales. Cette insuffisance médullaire ainsi que la prolifération incontrôlée des blastes leucémiques sont fatals en l'absence de traitement. Aux Etats-Unis, on estime à 19 950 le nombre de nouveaux cas de LAM par an et 10 430 décès liés à cette maladie chaque année.

L'étude clinique sera menée par le Docteur Gail J. Roboz, Investigateur Principal, Directrice du programme clinique et recherche translationnelle sur les leucémies et Professeur de médecine.

Les leucémies à cellules dendritiques plasmacytoïdes (LpDC) sont des tumeurs hématologiques malignes rares et agressives, dérivant des précurseurs plasmacytoïdes

de cellules dendritiques. Il s'agit d'une maladie de la moelle osseuse qui touche souvent la peau et les ganglions lymphatiques.

L'étude clinique de UCART123 à MD Anderson Cancer Center de l'Université du Texas sera menée par le Professeur Naveen Pemmaraju et le Professeur Hagop Kantarjian, Directeur du département traitant les leucémies.

Le procédé de fabrication de produits allogéniques fondés sur des cellules CART, appelés Universal CARTs ou UCARTs, permet la production de cellules allogéniques CART ingénierées, congelées et disponibles "sur étagère". Les produits UCARTs visent à offrir à une large population de patients des cellules CART prêtes à l'emploi. Leur production peut être industrialisée et standardisée selon des critères pharmaceutiques bien définis.

"À la suite d'une réunion pré-IND avec la FDA et de la réunion publique avec le National Institute of Health (NIH) - Comité Consultatif sur l'ADN Recombinant (RAC), soumettre cette demande d'essais cliniques est une étape réglementaire majeure pour la Société. Elle représente des années de travail en recherche et développement grâce à une équipe dédiée au développement de produits hautement innovants au bénéfice des patients," explique Stéphane Reynier, Chief Regulatory and Compliance Officer de Cellectis.

Le Docteur Loan Hoang-Sayag a ajouté : "UCART123 représente une approche thérapeutique unique pour les patients ayant des besoins médicaux non satisfaits tels que la leucémie aiguë myéloblastique (LAM) réfractaire ou en rechute et la leucémie à cellules dendritiques plasmacytoïdes (LpDC). Nous sommes ravis de mener aujourd'hui ce produit candidat en phase de développement clinique. Nous avons élaboré de robustes protocoles d'essais cliniques de Phase 1 pour mieux comprendre le potentiel d'UCART123 afin que ce produit puisse répondre aux besoins de différentes populations de patients."

Les informations sur les études cliniques en cours sont disponibles sur des sites publics dédiés tels que :

www.clinicaltrials.gov in the U.S.

www.clinicaltrialsregister.eu in Europe

À propos de Cellectis

Cellectis est une entreprise biopharmaceutique spécialisée dans le développement d'immunothérapies fondées sur les cellules CAR-T ingénierées (UCART). Sa mission est de développer une nouvelle génération de traitement contre le cancer, grâce aux cellules T ingénierées. Cellectis capitalise sur ses 17 ans d'expertise en ingénierie des génomes - s'appuyant sur ses outils phares les TALEN® et les méganucléases, et sur la technologie pionnière d'électroporation PulseAgile – afin de créer une nouvelle génération d'immunothérapies. L'immunothérapie adoptive anti-cancer développée par Cellectis est fondée sur des cellules T allogéniques exprimant un récepteur antigénique chimérique (CAR). Les technologies CAR sont conçues pour cibler des antigènes à la surface des cellules cancéreuses. Grâce à ses technologies pionnières d'ingénierie des génomes appliquées aux sciences de la vie, le groupe Cellectis a pour objectif de créer des produits innovants dans de multiples domaines ciblant plusieurs marchés. Cellectis

est cotée sur le marché Alternext (code : ALCLS) ainsi que sur le Nasdaq (code : CLLS).
Pour en savoir plus, visitez notre site internet : www.cellectis.com

Talking about gene editing? We do it.
TALEN® est une marque déposée, propriété du Groupe Cellectis.

Pour plus d'informations, veuillez contacter :

Contacts media :

Jennifer Moore, VP of Communications, 917-580-1088, media@cellectis.com
Caitlin Kasunich, KCSA Strategic Communications, 212-896-1241,
ckasunich@kcsa.com

Contact relations investisseurs :

Simon Harnest, VP of Corporate Strategy and Finance, 646-385-9008,
simon.harnest@cellectis.com

Avertissement

Ce communiqué de presse contient des déclarations prospectives sur les objectifs de la Société, qui reposent sur nos estimations et hypothèses actuelles et sur les informations qui nous sont actuellement disponibles. Les déclarations prospectives sont soumises à des risques connus et inconnus, des incertitudes et d'autres facteurs qui pourraient entraîner des différences matérielles entre nos résultats, performances et accomplissements actuels et les résultats, performances et accomplissements futurs exprimés ou suggérés par les déclarations prospectives. Les risques et incertitudes comprennent notamment le risque que les résultats préliminaires de nos produits candidats ne puissent être poursuivis ou être répétés; le risque de ne pas obtenir l'approbation réglementaire pour démarrer des essais cliniques sur les produits candidats UCART; le risque que l'un ou plusieurs de nos produits candidats ne soient pas développés et commercialisés. De plus amples informations sur les facteurs de risques qui peuvent affecter l'activité de la société et ses performances financières sont indiquées dans les différents documents que la société soumet à la Security Exchange Commission et dans ses rapports financiers. Sauf si cela est requis par la réglementation applicable, nous déclinons toute obligation d'actualiser et de publier ces énoncés prospectifs, ou de mettre à jour les raisons pour lesquelles les résultats pourraient différer matériellement de ceux prévus dans les énoncés prospectifs, même si de nouvelles informations étaient disponibles dans le futur.

###