



## Lysogene reçoit la désignation de médicament orphelin de l'EMA pour LYS-GM101, pour le traitement de la Gangliosidose à GM1

**PARIS, France et CAMBRIDGE Mass. USA - 21 février 2017** - Lysogene, (la « Société » FR0013233475 – LYS) société biopharmaceutique spécialisée dans la thérapie génique ciblant les maladies du système nerveux central (**SNC**), annonce aujourd'hui que l'Agence Européenne des Médicaments (EMA) a accordé la désignation de médicament orphelin au LYS-GM101, candidat médicament de la Société pour le traitement de la Gangliosidose à GM1 (**GM1**).

La FDA (Food and Drug Administration) aux États-Unis a également accordé les désignations de médicament orphelin et de maladie rare pédiatrique au LYS-GM101 au début de l'année.

*« La désignation de médicament orphelin par l'EMA pour LYS-GM101 est une importante étape réglementaire. Elle valide la crédibilité de notre approche médicale et facilitera et accélérera le développement clinique de notre traitement. C'est une bonne nouvelle pour les patients atteints de cette maladie neurodégénérative grave et nous avons hâte de démarrer l'étude clinique de phase I/II (LYS-GM101) en 2018 »,* déclare Karen Aiach, Fondatrice et Directrice Générale de Lysogene.

LYS-GM101 est conçu afin de corriger l'action d'un gène défectueux dans les cellules des patients atteints de GM1, ce qui permettra de produire une enzyme fonctionnelle et de prévenir la nature progressive des dommages neurologiques causés par GM1.

### À propos de la désignation de médicament orphelin

Une désignation de médicament orphelin par l'EMA permet à une entreprise pharmaceutique de bénéficier d'aides de l'UE pour développer un médicament contre une maladie rare. Les candidatures sont examinées par le Comité des Médicaments Orphelins (**COMP**), qui émet un avis, transmis à la Commission Européenne (**CE**). La CE décide ensuite si elle accorde la désignation de médicament orphelin pour le traitement en question, sous 30 jours après réception de l'avis du COMP. Les entreprises pharmaceutiques ayant obtenu la désignation de médicament orphelin bénéficient de plusieurs avantages, notamment un soutien au niveau du protocole, un type d'avis scientifique spécialisé dans les médicaments désignés orphelins, et une exclusivité de marché une fois que le médicament est autorisé. Des réductions sont également disponibles, en fonction du statut et du type de service requis.

## Communiqué de Presse

21 février 2017

LYSOGENE



### À propos de GM1

La Gangliosidose à GM1 est une maladie rare neurodégénérative caractérisée par des retards cognitifs et moteurs de développement graves entraînant la mort précoce. La maladie est causée par une mutation du gène GLB1 qui code pour la bêta-galactosidase, une enzyme nécessaire au recyclage de la molécule GM1-gangliosidose dans les neurones. Ce lipide du cerveau est essentiel pour un fonctionnement normal, mais son accumulation entraîne une neurodégénérescence et des symptômes neurologiques sévères. À la connaissance de la Société, il n'existe à ce jour aucun traitement permettant de stabiliser ou ralentir l'état clinique des patients atteints de GM1.

### À propos de Lysogene

Lysogene est une société de biotechnologie au stade clinique, pionnière dans la recherche fondamentale et le développement clinique de thérapies géniques utilisant des vecteurs dérivés de virus adéno-associés pour traiter des maladies rares et mortelles du SNC de l'enfant, pour lesquelles il n'existe aujourd'hui, à la connaissance de la Société, aucun traitement. Depuis 2009, Lysogene a mis en place une solide plateforme et un réseau important, avec des produits innovants dans la MPS IIIA et dans la gangliosidose à GM1. Lysogene a obtenu la désignation de médicament orphelin par la FDA et l'EMA, et la désignation de maladie rare pédiatrique par la FDA, pour le programme MPS IIIA.

Lysogene est cotée sur le marché réglementé d'Euronext à Paris d'Euronext à Paris (code ISIN : FR0013233475)

Pour plus d'informations : [www.lysogene.com](http://www.lysogene.com).

### Contacts Europe:

#### Relations Presse: NewCap

Annie Florence

[afloyer@newcap.fr](mailto:afloyer@newcap.fr)

+ 33 6 88 20 35 59

+ 33 1 44 71 00 12

#### Chris Maggos

Managing Director, Europe

LifeSci Advisors

[chris@lifesciadvisors.com](mailto:chris@lifesciadvisors.com)

+41 79 367 6254

### Contacts USA:

#### Marion Janic

RooneyPartners

[mjanic@rooneyco.com](mailto:mjanic@rooneyco.com)

+ 1 (212) 223-4017