



Lysogene présente des données cliniques de la première étude observationnelle internationale pour la maladie MPS IIIA (Sanfilippo A)

Cette étude servira de groupe contrôle pour l'étude pivot et d'aide à une meilleure compréhension de la maladie

PARIS, France et CAMBRIDGE, MA, US – 28 mars 2017 – Lysogene (la « Société » ; FR0013233475 – LYS), société biopharmaceutique pionnière et spécialisée dans la thérapie génique ciblant les maladies rares du système nerveux central, publie aujourd'hui des premières données cliniques de son étude observationnelle internationale pour la maladie Sanfilippo A (SAMOS), thème d'une présentation par poster faite au 13^e *WORLD Symposium* à San Diego, Californie. La maladie Sanfilippo A est également connue sous le nom de Mucopolysaccharidose Type IIIA (MPS IIIA).

L'objectif de SAMOS est d'évaluer l'évolution clinique des patients non traités souffrant de la MPS IIIA. Comme validé avec les autorités réglementaires, cette étude servira de groupe contrôle pour l'essai clinique d'enregistrement du produit de thérapie génique en développement dans cette indication.

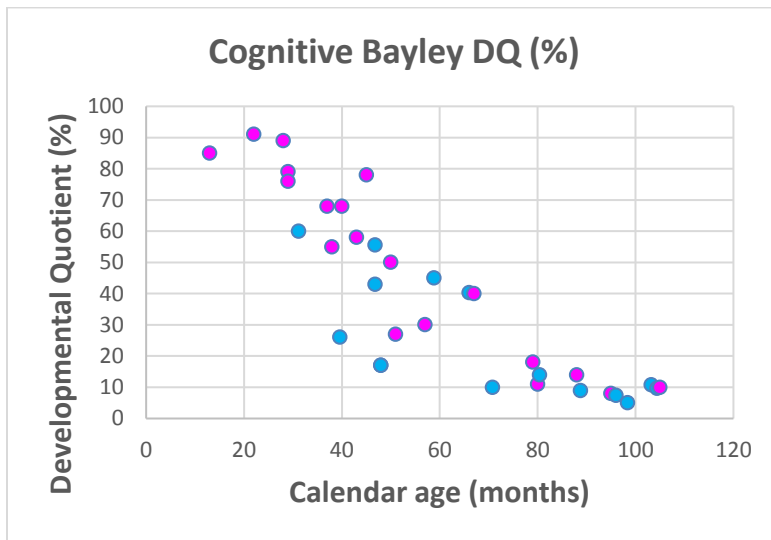
Afin de mettre au point le design de l'étude et de déterminer les critères d'évaluation les plus pertinents dans cette pathologie, Lysogene a constitué un panel international d'experts en neurologie et neuropsychologie.

Grâce à leur travail, les experts ont déterminé que le critère d'évaluation principal était la fonction cognitive, selon l'échelle *Bayley du développement de l'enfant et du nourrisson 3^e édition (BSID-III)*. L'échelle *Vineland sur l'adaptation du comportement* a été définie comme une seconde mesure possible. L'évaluation neurocognitive est particulièrement importante en l'absence de biomarqueurs corrélés à la progression neurodégénérative observée dans cette pathologie et donc à la possible réponse clinique d'un traitement futur.

L'âge cognitif évalué chez les 15 premiers patients inclus, âgés de 3 à 8 ans, selon l'échelle BSID-III, confirme le déclin intellectuel progressif, l'hyperactivité et les troubles du comportement chez ces patients. L'approche collaborative de Lysogene a permis de réaliser une première méta-analyse en combinant ses premières données avec celles publiées par l'Université du Minnesota (Shapiro et al., 2015).

« Ces données de référence sont les premières d'un ensemble de données que nous espérons obtenir de cette étude afin de mieux décrire et caractériser la maladie de Sanfilippo de type A » explique Soraya Bekkali, Directrice Médicale. « Nous sommes convaincus que les données actuelles et celles à venir seront précieuses en vue de la préparation de l'étude clinique d'enregistrement du traitement développé par Lysogene dans la MPS IIIA.»

Schéma 1: Données consolidées du Quotient de Développement (QD) basé sur le BSID-III. Référence : 15 patients inclus dans l'étude de Lysogene (points bleus), 19 patients issus des données publiées (points roses)-(Shapiro 2015)



Source: Données internes Lysogene et données de Shapiro (2015)

Lysogene cible le traitement des symptômes neurologiques de la maladie MPS IIIA:

Le produit de thérapie génique en développement par Lysogene pour la maladie MPS IIIA est un vecteur rAAV sérotype rh.10, incluant le gène codant pour SGSH. La thérapie génique *in vivo* offre la possibilité d'un traitement en une fois, en insérant une copie saine du gène SGSH dans l'organisme, permettant ainsi au corps de fabriquer l'enzyme manquante, avec comme objectif de ralentir voire de stopper la progression de la maladie. Le médicament candidat est délivré directement dans le cerveau en une seule procédure neurochirurgicale.

Pour plus d'informations sur SAMOS: www.ClinicalTrials.gov Identifiant: NCT02746341.

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

Contacts

Media:

Europe

Annie Florence
NewCap
afloyer@newcap.fr
+ 33 6 88 20 35 59
+ 33 1 44 71 00 12

Amérique du Nord

Marion Janic
RooneyPartners
mjanic@rooneyco.com
+ 1 (212) 223-4017

Investisseurs :

Julie Coulot / Emmanuel Huynh
NewCap
lysogene@newcap.eu
+ 33 44 71 20 40