



## Lysogene annonce la fin du recrutement des patients pour la première étude pivot observationnelle internationale dans la MPS IIIA

- Un recrutement rapide : 23 patients en moins d'un an
- Un consensus scientifique sur les outils d'évaluation cognitive et comportementale (BSID-III, VABS-II) utilisés

**PARIS, France et CAMBRIDGE MA USA – 30 mai 2017, 07h00 CET** - Lysogene (la « Société » FR0013233475 – LYS), société biopharmaceutique pionnière et spécialisée dans la thérapie génique ciblant les maladies rares du système nerveux central (SNC), annonce aujourd'hui la fin du recrutement des patients dans le cadre de SAMOS<sup>1</sup>, son étude observationnelle internationale pour la maladie Sanfilippo de type A - également connue sous le nom de Mucopolysaccharidose Type IIIA (MPS IIIA).

SAMOS est particulièrement importante car il n'existe actuellement aucun biomarqueur validé permettant de suivre la progression de la MPS IIIA dans le SNC, ni d'observer les effets sur le SNC du futur traitement envisagé. SAMOS a donc été conçue pour évaluer la progression clinique des patients non traités atteints de MPS IIIA. Comme convenu avec les autorités réglementaires, cette étude internationale multicentrique servira de « groupe contrôle » en vue de l'étude pivot de Lysogene (Phase II/III) par thérapie génique, qui devrait débiter au premier trimestre 2018.

« Lysogene a adopté une approche très proactive et rigoureuse pour améliorer les connaissances sur la MPS IIIA » commente Dr. Bénédicte Heron, neuropédiatre à l'Hôpital Armand Trousseau (AP-HP), Paris, France. « Les efforts fournis par la Société pour mener à bien cette étude observationnelle lui permettront de développer plus avant ses recherches et thérapies, tout en étant utile à l'ensemble de la communauté scientifique. »

Samantha Parker, Directrice Affaires Externes de Lysogene, déclare : « Le recrutement des 23 patients dans 5 pays différents s'est déroulé rapidement. Les responsables de nos sites cliniques et les réseaux d'associations de patients ont ainsi démontré leur intérêt prononcé et leur participation active afin de répondre aux besoins médicaux encore non satisfait dans la MPS IIIA. »

---

<sup>1</sup> Sanfilippo A Multinational Observational Study

En concevant SAMOS, Lysogene a constitué le premier panel d'experts internationaux en neurologie et neuropsychologie pour la MPS IIIA. Ces experts ont considéré que le critère principal à évaluer est la fonction cognitive. Un critère à la fois rigoureux et mesurable scientifiquement grâce à l'outil qu'est *l'échelle Bayley du développement de l'enfant et du nourrisson 3e édition (BSID-III)*. *L'échelle Vineland sur l'adaptation du comportement 2e édition (VABS-II)* a été définie comme le second outil de mesure le plus approprié.

Pour aller plus loin dans la validation des critères cliniques des MPS neurologiques, une réunion de consensus entre les experts internationaux a été organisée à Londres les 2 et 3 décembre 2016 par un comité académique en partenariat avec *la UK Society for Mucopolysaccharide Diseases* et *la US National MPS Society*, présidée par Elsa Shapiro<sup>2</sup>. Parmi tous les instruments à disposition, le BSID-III a définitivement été recommandé pour mesurer les résultats cognitifs, tandis que le VABS-II a lui été recommandé pour mesurer l'évolution du comportement adaptatif (en s'appuyant sur la version longue de l'entretien (*van der Lee, 2017*)).<sup>3</sup>

Lysogene a déjà obtenu des données cliniques de l'étude SAMOS, en évaluant l'âge cognitif chez les 15 premiers patients inclus, âgés de 3 à 8 ans, selon l'échelle BSID-III, qui ont confirmé le déclin intellectuel progressif, l'hyperactivité et les troubles du comportement chez ces patients.

Lysogene a également achevé son essai clinique de phase I/II ainsi que son étude de suivi de 4 patients MPS IIIA pendant 5 ans, sans aucun effet indésirable lié au traitement ou au mode d'administration.<sup>4</sup>

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

MPS IIIA est une maladie mortelle du SNC nécessitant un traitement ciblé. 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](http://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. Chacun des produits développés par Lysogene, LYS-SAF302 et LYS-GM101, dispose des désignations de médicament orphelin par la FDA et l'EMA, et de la désignation de maladie rare pédiatrique par la FDA.

---

<sup>2</sup> Shapiro Neuropsychology Consulting, LLC, Portland, OR, USA and Department of Pediatrics, University of Minnesota, Minneapolis, MN, USA

<sup>3</sup> J.H. van der Lee, et al., Cognitive endpoints for therapy development for neuronopathic mucopolysaccharidoses: Results of a consensus procedure, *Mol. Genet. Metab.* (2017), <http://dx.doi.org/10.1016/j.ymgme.2017.05.004>

<sup>4</sup> Tardieu, M., et al. Intracerebral Administration of Adeno-Associated Viral Vector Serotype rh.10 Carrying Human SGSH and SUMF1 cDNAs in Children with Mucopolysaccharidosis Type IIIA Disease: Results of a Phase I/II Trial, *Human Gene Therapy* (2014), <http://online.liebertpub.com/doi/abs/10.1089/hum.2013.238>

Lysogene est cotée sur le marché réglementé d'Euronext à Paris d'Euronext à Paris (code ISIN : FR0013233475). Plus d'informations : [www.lysogene.com](http://www.lysogene.com).



## **Contacts**

### **Media:**

#### **Europe**

Annie-Florence Loyer/Léa Jacquin

NewCap

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

+ 33 6 88 20 35 59

+ 33 1 44 71 00 12

#### **Amérique du Nord**

Marion Janic

RooneyPartners

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

+ 1 (212) 223-4017

### **Investisseurs :**

Mathilde Bohin / Emmanuel Huynh

NewCap

[lysogene@newcap.eu](mailto:lysogene@newcap.eu)

+ 33 1 44 71 20 40