



Lysogene a réuni son premier Conseil consultatif de parents d'enfants souffrant de MPS IIIA

- *Premier conseil consultatif réunissant des parents d'enfants souffrant de MPS IIIA, une maladie rare et incurable du système nerveux central*
- *Ce conseil consultatif a permis de collecter des informations précieuses sur les attentes des parents concernant le traitement et notamment sur l'urgence de traiter la composante neurologique de la maladie*
- *Les parents soutiennent la stratégie de recrutement de Lysogene et lui font confiance pour ses futurs essais cliniques*

PARIS, France, et CAMBRIDGE, Mass., USA – le 21 septembre 2017 à 07h00 CET – Lysogene (la « Société » FR0013233475 – LYS), société biopharmaceutique spécialisée dans la thérapie génique ciblant les maladies du système nerveux central (SNC), annonce avoir organisé le premier Conseil consultatif de parents, destiné à la famille et l'entourage des enfants souffrant de Mucopolysaccharidose de type IIIA (MPS IIIA), également connue sous le nom de maladie de Sanfilippo de type A, en août 2017 à Minneapolis aux États-Unis.

Le Conseil consultatif de parents, entièrement dédié aux questions, attentes et inquiétudes autour de l'enfant malade, a été organisé par Lysogene en collaboration avec la *National MPS society*, la *Cure Sanfilippo Foundation* et le Centre d'information et d'étude sur la participation à la recherche clinique (*Center for Information and Study on Clinical Research Participation - CISCRP*). Les objectifs du Conseil étaient de mieux comprendre la façon dont les patients et leur entourage vivent la maladie, d'évaluer leur perception générale des essais cliniques dans la MPS IIIA et de solliciter leur point de vue et réactions à propos de la conception des essais cliniques envisagés dans le traitement de la MPS IIIA.

Les membres du Conseil, composé de parents et/ou entourage d'enfants atteints de MPS IIIA, ont fait part de leur expérience personnelle de la maladie et des difficultés liées à la participation à un essai clinique. A l'occasion de cette rencontre, les parents ont confirmé l'impact considérable de cette pathologie sur la vie de la famille, qui s'en trouve bouleversée, et les écarts importants entre les enfants (symptômes, gravité de leur état...). Les enfants atteints de MPS IIIA présentent des symptômes neurologiques, tels qu'un retard dans le développement cognitif, de troubles du sommeil, d'hyperactivité et de troubles moteurs (comme des difficultés de préhension ou pour tourner la tête sur le côté).

« Depuis toujours, Lysogene place le patient au cœur de la conception de ses essais cliniques. Les commentaires et recommandations du Conseil consultatif de parents sont une aide précieuse pour continuer notre effort, » a déclaré Samantha Parker, Chief Patient Access Officer de Lysogene. « Les apports fournis par le Conseil ont dépassé nos attentes et nous remercions les familles pour leur engagement évident et leur participation active. Ces données précieuses nous aideront à concevoir notre essai clinique pivot dans la MPS IIIA. »

« Nous sommes heureux de cette opportunité de mettre en place un Conseil consultatif de parents en partenariat avec Lysogene, car c'est une nouvelle façon de donner la parole aux familles qui sont affectées par cette terrible maladie » a déclaré Annick Anderson, Directrice des Services de recherche du CISCRP. « Comprendre le chemin parcouru par ces familles pour obtenir un diagnostic et les difficultés rencontrées pour prendre soin d'un enfant qui souffre de MPS IIIA, permettront à terme d'élaborer de meilleurs traitements pour ces patients. »

À propos du CISCRP

Le Centre d'information et d'étude sur la participation à la recherche clinique (*Center for Information & Study on Clinical Research Participation—CISCRP*) est une organisation américaine indépendante à but non lucratif dont l'objectif est d'impliquer le public et le patient dans le processus de recherche clinique en tant que partenaires de ce processus. Le CICRP fournit gratuitement des informations au public et aux patients dans le cadre d'actions de sensibilisation et d'éducation. Rendez-vous sur le site www.CISCRP.org pour obtenir des informations plus détaillées ou pour soutenir les actions du CISCRP.

À propos de Lysogene

Lysogene (www.lysogene.com) est une société internationale biopharmaceutique pionnière dans la recherche fondamentale et le développement clinique de traitements des maladies rares du SNC. Lysogene a généré un total de cinq années de données d'innocuité clinique démontrant l'efficacité d'une route d'administration directe au SNC dans le cadre de son premier essai de thérapie génique dans la MPS IIIA. Lysogene a récemment achevé le recrutement des patients pour la première étude pivot observationnelle internationale qui servira de groupe de contrôle en vue de la première étude pivot dans la MPS IIIA, qui devrait débiter au premier semestre 2018. Lysogene prévoit également le démarrage d'un essai clinique dans la gangliosidose à GM1 en 2019. Lysogene a obtenu pour ces deux programmes la désignation de médicament orphelin, délivrée par l'EMA et par la FDA, et la désignation de maladie pédiatrique rare, délivrée par la FDA.

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



Contacts

Media:

Europe

Annie-Florence Loyer/ Léa Jacquin

NewCap

afloyer@newcap.fr/ljacquin@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 :

Mathilde Bohin / Emmanuel Huynh

NewCap

lysogene@newcap.eu

+ 33 1 44 71 20 40