



Lysogene organise un *KOL Meeting* sur l'apport de la thérapie génique dans la maladie de Sanfilippo de type A, à New York

- *Le Docteur Ronald G. Crystal, qui dirige le département de médecine génétique de la faculté de médecine Weill Cornell, et KOL pour Lysogene, sera l'orateur*

PARIS, France, et CAMBRIDGE, Mass., USA – le 5 octobre, à 18.00 CET – Lysogene (FR0013233475 – LYS), société biopharmaceutique spécialisée dans la thérapie génique ciblant les maladies du système nerveux central (SNC), annonce qu'elle organise une conférence sur la *thérapie génique pour les patients souffrant de la maladie de Sanfilippo de Type A (MPS IIIA)* le vendredi 13 octobre 2017 de 12h à 13h30 EDT, à New York.

La présentation du Docteur **Ronald G. Crystal**, qui dirige le département de médecine génétique de la faculté de médecine Weill Cornell, marquera un temps fort de la conférence. Il fera le point sur les avancées de la thérapie génique pour traiter les patients atteints de pathologies dégénératives du système nerveux central (SNC), comme la MPS IIIA. Sa présentation sera suivie d'une session de questions/réponses.

Cette conférence sera, en outre, l'occasion pour la direction de Lysogene de présenter le programme de développement clinique de son produit candidat de thérapie génique *in vivo* ciblant la MPS IIIA, un vecteur rAAV sérotype rh.10, incluant le gène codant pour SGSH. La thérapie génique de Lysogene est délivrée directement dans le SNC en une seule procédure neurochirurgicale. En fournissant le gène déficient SGSH, Lysogene estime que les patients souffrant de MPS IIIA auront accès à une source permanente d'enzyme fonctionnelle dans le cerveau, qui corrigera les anomalies phénotypiques du SNC.

Cette conférence est organisée à l'intention des investisseurs institutionnels, analystes financiers de société de bourse et professionnels de la banque d'investissement et du développement d'entreprises. Nous vous recommandons de vous [inscrire](#) dès maintenant en raison du nombre limité de participants. Si vous ne pouvez être présent, vous pourrez vous connecter [ici](#) pour assister à cet événement en direct ou en rediffusion.

À propos du Professeur Ronald G. Crystal

Le Professeur Ronald G. Crystal dirige le département de médecine génétique de la faculté de médecine Weill Cornell, où il occupe la chaire Bruce Webster de médecine interne. Il dirige également le centre de thérapie génique Belfer et exerce à New York, à l'hôpital presbytérien et au centre médical Weill Cornell. Le Professeur Crystal est l'un des pionniers de la thérapie génique. Il a été le premier à employer un virus recombinant comme véhicule de la thérapie génique *in vivo*, et il a réalisé des essais de thérapie génique sur des patients souffrant de fibrose kystique, d'ischémie cardiaque, de cancer et de pathologies du système nerveux central. Son laboratoire poursuit en outre des programmes d'importance cruciale pour décrypter la façon dont les variations génétiques humaines modulent l'expression génique dans le contexte de l'exposition à l'environnement, et exploiter ces relations en vue de l'établissement d'une nomenclature biologique des maladies humaines et de l'identification des personnes à risque. Le Professeur Crystal siège au comité de rédaction de nombreuses revues biomédicales. Il a publié plus de 850 articles scientifiques et ses travaux ont été cités plus de 50 000 fois dans les ouvrages de recherche. Il a publié un certain nombre de manuels universitaires et il siège dans plusieurs conseils d'organisations gouvernementales et de groupes industriels. Le Professeur Crystal est à l'origine de nombreux brevets biomédicaux et il a fondé plusieurs entreprises de biotechnologies ciblant le développement de thérapies géniques.

A propos de Lysogene

Lysogene 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 débuter 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

Investisseurs :

Julie Coulot / Emmanuel Huynh

NewCap

lysogene@newcap.eu

+ 33 1 44 71 20 40

Amérique du Nord

Marion Janic

RooneyPartners

mjanic@rooneyco.com

+ 1 (212) 223-4017