



## Lysogene : information financière du 3<sup>ème</sup> trimestre 2017

**PARIS, France et CAMBRIDGE, MA., USA – le 16 octobre 2017** – Lysogene, (la « Société » FR0013233475 – LYS) société biopharmaceutique spécialisée dans la thérapie génique ciblant les maladies du système nerveux central (SNC), annonce aujourd’hui sa situation de trésorerie à la fin du troisième trimestre 2017.

### Trésorerie et chiffre d’affaires au 30 septembre 2017

Au 30 septembre 2017, la trésorerie disponible s’élevait à 17,3 millions d’euros<sup>1</sup> comparée à 21,1 millions d’euros<sup>1</sup> au 30 juin 2017.

Comme attendu, Lysogene n’a pas généré de chiffre d’affaires au troisième trimestre 2017.

### Évènements importants survenus depuis le 30 juin 2017

- **10 juillet 2017** : au sein de la thématique « CNS AAV Gene Therapy » du Symposium MPS 2017 de l’*Orphan Disease Center* à Philadelphie aux États-Unis, Karen Aiach a présenté la recherche menée par Lysogene pour le traitement de la Mucopolysaccharidose de type IIIA<sup>2</sup> (MPS IIIA), un des 4 types de la maladie de Sanfilippo, pathologie génétique rare, mortelle qui affecte le SNC. Lysogene développe un traitement de thérapie génique pour le traitement de la MPS IIIA, qui utilise un vecteur rAAV sérotype rh.10, injecté directement dans le SNC. La présentation de Karen Aiach a détaillé les données précliniques et cliniques, ainsi que l’élaboration de l’essai clinique et ses critères d’évaluation.
- **23 août 2017** : au *Bioprocessing Summit 2017* à Boston, Lysogene a présenté les résultats du développement de son test permettant d’évaluer l’activité enzymatique induite par ses vecteurs AAV.
- **12 septembre 2017** : Lysogene s’est doté d’un Comité consultatif clinique composé d’experts de renom international parmi les plus éminents en thérapie génique, neurochirurgie et troubles du stockage lysosomal. Ce comité prodiguera des conseils stratégiques à Lysogene au cours de l’avancement de ses programmes de développement clinique et validera, en concertation avec le Conseil scientifique de Lysogene, le plan de commercialisation de ses candidats médicaments orphelins de thérapie génique dont les premiers vont adresser la MPS IIIA et la Gangliosidose à GM1<sup>2</sup> (GM1). La création de ce comité représente une étape-clé pour

<sup>1</sup> Non audités et non sujets à approbation par le conseil d’administration

<sup>2</sup> Ces pathologies sont des neuropathies rares, caractérisées par une surcharge lysosomale, qui entraînent le décès prématuré des patients

répondre à l'objectif que s'est fixé Lysogene : apporter des traitements innovants aux patients souffrant de maladies neurologiques rares. La première réunion devrait se tenir au cours du dernier trimestre 2017.

- *21 septembre 2017* : Lysogene a réuni son premier Conseil consultatif de parents d'enfants souffrant de MPS IIIA. 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 - CISC RP*). 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 apports fournis par le Conseil ont dépassé les attentes de Lysogene. Les données précieuses, récoltées lors de cette première réunion, ont aidé la Société à concevoir certains détails pratiques de son essai clinique pivot dans la MPS IIIA.
- En *septembre*, Lysogene a également confirmé que son étude de phase II/III dans la MPS IIIA sera multicentrique et internationale. Lysogene continue d'interagir avec les autorités réglementaires européennes (EMA) et américaines (FDA), notamment dans la phase du Pediatric Investigation Plan (PIP) avec l'EMA. En parallèle, la production des lots GMP de LYS-SAF302 pour cette étude pivot a récemment démarré.

### Prochain rendez-vous

- *14-15 novembre 2017* : conférence Jefferies 2017 London Healthcare (Londres, Angleterre)
- *23-24 novembre 2017* : salon Actionnaria 2017 (Paris, France)
- *11 janvier 2018* : publication de la trésorerie au quatrième trimestre 2017

### 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 et le programme GM1.

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



## **Contacts**

### **Media :**

#### **Europe**

Annie-Florence Loyer

NewCap

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

Julie Coulot / Emmanuel Huynh

NewCap

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

+ 33 1 44 71 94 95