



Lysogene : retour sur la réunion du Comité clinique consultatif (*Clinical Advisory Board*) dédiée à la MPS IIIA et à la gangliosidose à GM1

- *Le Comité clinique consultatif est composé d'experts de renommée internationale en thérapie génique et traitement de maladies lysosomales*
- *Les discussions ont porté sur le design de l'étude pivot dans la MPS IIIA et sur la stratégie de développement clinique dans la gangliosidose à GM1*
- *Des informations précieuses ont été fournies sur les attentes en matière de traitement et sur le besoin urgent de trouver des solutions pour les atteintes neurologiques dans la MPS IIIA*
- *Les cliniciens confirment la capacité de Lysogene à délivrer directement dans le système nerveux central (SNC) et sa stratégie de recrutement dans la MPS IIIA*

PARIS, France, et CAMBRIDGE, MA, États-Unis – le 21 décembre 2017, 17h45 CET – Lysogene (FR0013233475 – LYS), société biopharmaceutique pionnière dans la thérapie génique ciblant les maladies du système nerveux central (SNC), annonce avoir organisé la première réunion de son Comité clinique consultatif (le « Comité »), le 8 décembre dernier à New York, États-Unis.

Ce Comité, composé d'experts venant des États-Unis, d'Europe et du Brésil, de renommée internationale en thérapie génique et en traitement de maladies lysosomales, est présidé par le Professeur Roberto Giugliani (Université de Rio Grande do Sul, Porto Allegre, au Brésil) et le Professeur Frits Wijburg (Centre Médical Académique AMC, aux Pays-Bas). Le Comité a été créé pour prodiguer des conseils stratégiques à Lysogene sur ses programmes de développement clinique, ainsi que sur son plan de commercialisation de ses candidats-médicaments en thérapie génique pour les maladies du SNC, dont les premiers adressent la Mucopolysaccharidose de type IIIA (MPS IIIA) avec le produit LYS-SAF302 et la Gangliosidose à GM1 (GM1) avec le produit LYS-GM101, qui sont deux indications orphelines et mortelles pour lesquelles il n'y a actuellement pas de traitement disponible.

Lysogene a obtenu pour ces deux programmes la désignation de médicament orphelin, délivrée par l'Agence Européenne des Médicaments (EMA) ainsi que de la *Food and Drug Administration* (FDA), et la désignation de maladie pédiatrique rare, délivrée par la FDA.

Lors de la réunion, le Comité a confirmé que « *l'étude pivot de Lysogene [dans la MPS IIIA] semble être unique et avantageuse car implique une méthode d'administration plus efficace [au niveau du SNC] que l'administration de médicament par voie intraveineuse. Par ailleurs, Lysogene a sélectionné des critères d'évaluation clinique et des outils d'évaluation qui, selon les experts, permettent de mesurer des données cliniquement pertinentes.* »

Les membres du Comité ont été impressionnés par la qualité des données de l'étude observationnelle de Lysogene dans la MPS IIIA, qui seront utilisées comme bras contrôle pour l'étude pivot de LYS-SAF302, menée en interaction avec la FDA et l'EMA. Les membres du Comité ont confirmé que les données démontrent que la maladie affecte principalement le SNC des patients. Les enfants atteints de MPS IIIA souffrent de symptômes neurologiques, tels qu'un retard de développement, des troubles du sommeil, une hyperactivité, et des troubles moteurs. Les symptômes et la sévérité de la maladie varient d'un enfant à l'autre, et il est nécessaire de comparer les enfants traités avec des témoins appariés, en utilisant l'unique outil validé et faisant l'objet d'un consensus international, à savoir l'échelle de mesure nommée « *Bayley Scales of Infant and Toddler Development third edition* » (BSID-III)¹. Le Comité a apporté un soutien significatif à la stratégie de recrutement des patients de Lysogene.

Les principaux centres internationaux de thérapie génique et de prise en charge de maladies lysosomales participeront à l'étude pivot de LYS-SAF302.

LYS-SAF302 est un vecteur rAAV sérotype rh.10, incluant le gène codant pour SGSH. Cette 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 stopper la progression de la maladie. La thérapie génique de Lysogene est délivrée directement dans le SNC au cours d'une procédure neurochirurgicale. Lysogene estime que l'apport du gène déficient SGSH permettra aux patients souffrant de MPS IIIA de produire de manière permanente l'enzyme fonctionnelle dans leur cerveau, et de corriger ainsi les anomalies phénotypiques des cellules du SNC.

Lysogene détient une licence exclusive pour l'utilisation du vecteur rAAV sérotype rh.10 dans la MPS IIIA.

¹ Van der Lee et al (2017) Cognitive endpoints for therapy development for neuronopathic Mucopolysaccharidoses: Results of a consensus procedure. Mol Genet Metab

À 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 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