



Lysogene obtient le feu vert de l'Agence européenne des médicaments (EMA) ouvrant la voie à l'approbation pour débiter les essais cliniques de son étude pivot dans la MPS IIIA

- *Avis positif de l'EMA concernant le Plan d'Investigation Pédiatrique (PIP) sur LYS-SAF302, thérapie génique AAV dans la mucopolysaccharidose de type IIIA (MPS IIIA)*
- *L'étude pivot constitue un élément essentiel du PIP validé*
- *Avancée significative vers le dépôt d'une demande d'autorisation de mise sur le marché au sein de l'Union Européenne (UE)*
- *La validation du PIP prolonge à 12 ans l'exclusivité de commercialisation à compter de l'obtention de l'Autorisation de Mise sur le Marché (AMM) au sein de l'UE*

PARIS, France, et CAMBRIDGE, MA, États-Unis – Le 06 février 2018, à 17h45 – Lysogene (FR0013233475 – LYS), société biopharmaceutique pionnière dans la thérapie génique ciblant les maladies du système nerveux central (SNC), annonce aujourd'hui que le Comité Pédiatrique (PDCO) de l'Agence européenne des médicaments (EMA) a émis un avis positif concernant le Plan d'Investigation Pédiatrique (PIP) soumis pour son principal produit candidat, LYS-SAF302, chez des patients atteints de mucopolysaccharidose de type IIIA (MPS IIIA).

Tout PIP doit être validé par l'EMA avant d'obtenir une AMM pour des nouveaux médicaments.

La validation du PIP pour LYS-SAF302 signifie que le protocole de l'étude clinique de Phase 3, à un seul bras de traitement, qui sera menée par Lysogene chez des enfants atteints de MPS IIIA, est considéré comme approprié.

Par ailleurs, grâce à la validation du PIP, LYS-SAF302 devient éligible pour une extension de deux ans de l'exclusivité de commercialisation, en plus de l'exclusivité de dix ans accordée sur la base de son statut de médicament orphelin octroyé par l'EMA.

« L'avis positif rendu par le Comité PDCO de l'EMA sur le Plan d'Investigation Pédiatrique constitue une étape importante vers le dépôt de notre demande d'autorisation de mise sur le marché après la fin de l'étude de Phase 3, » explique Sean O'Bryan, Directeur des Affaires Réglementaires et de l'Assurance

Qualité chez Lysogene. « *Il s'agit d'une avancée significative vers un traitement ciblant la cause de la maladie* ».

La MPS IIIA est une maladie neurodégénérative qui apparaît dans la petite enfance et qui provoque le décès précoce des patients. Il n'existe actuellement aucun traitement médicamenteux autorisé. Les manifestations concernent principalement le SNC, avec notamment un déficit intellectuel, la perte progressive des compétences acquises, ainsi que des troubles du comportement et du sommeil. La réduction de l'espérance de vie est liée à une détérioration neurologique progressive grave. Les autres organes ne présentent pas d'atteinte pathologique majeure.

L'étude clinique de Phase 1-2 sur la thérapie génique de première génération, LYS-SAF301, de Lysogene, menée chez des enfants atteints de MPS IIIA et désormais terminée, avait mis en évidence un profil de tolérance à 5 ans favorable, ainsi que des données d'efficacité encourageantes.

LYS-SAF302 est un vecteur rAAV de sérotype rh.10, incluant le gène humain codant de la SGSH. Cette thérapie génique *in vivo* est administrée en une seule procédure, consistant à insérer chez les malades une copie normale du gène codant la SGSH, afin que l'organisme puisse produire l'enzyme déficiente et ainsi ralentir ou arrêter 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 SGSH manquant permettra aux patients souffrant de MPS IIIA de produire de manière permanente l'enzyme fonctionnelle dans leur cerveau, et corriger ainsi les anomalies phénotypiques des cellules du SNC.

Lysogene détient une licence d'utilisation exclusive et mondiale de REGENXBIO pour le vecteur AAVrh.10 dans la MPS IIIA.

À propos de Lysogene

Lysogene est une société de thérapie génique spécialisée dans les maladies rares du SNC et un leader dans le domaine de la MPS IIIA. Lysogene a généré des données d'innocuité clinique sur un total de 5 ans de suivi démontrant l'efficacité de la voie d'administration directe dans le SNC dans le cadre de son premier essai de thérapie génique dans la MPS IIIA. La société a inclus 23 patients dans l'étude observationnelle internationale qui servira de groupe de contrôle à 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. Les deux programmes ont obtenu la désignation de médicament orphelin par l'EMA et la FDA (Food and Drug Administration), et la désignation de maladie rare pédiatrique par la FDA.

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



Contacts

Julie Coulot / Emmanuel Huynh

NewCap

lysogene@newcap.eu

+ 33 1 44 71 94 95