



## Lysogene annonce ses résultats annuels 2018 et fait le point sur ses opérations

- Trésorerie de 25 M€ au 31 décembre 2018
- Collaboration stratégique avec Sarepta, leader mondial américain en biotechnologies, sur LYS-SAF302, pour un paiement pouvant s'élever à 125 M\$ (108 M€) si tous les milestones sont atteints
- Premier patient recruté dans l'essai clinique de phase 2/3 (AAVance) évaluant LYS-SAF302 dans la MPS IIIA ayant déclenché un paiement d'étape de 18 M\$ (16 M€)
- Finalisation des études précliniques d'efficacité de GM1 dans la gangliosidose. Obtention de l'IND (Investigational New Drug) prévue en 2020

**PARIS, France, – 11 avril 2019 à 7h00 CEST** – Lysogene (FR0013233475 – LYS), société biopharmaceutique spécialisée dans la thérapie génique ciblant les maladies du système nerveux central (SNC), annonce aujourd'hui ses résultats annuels 2018, arrêtés par le conseil d'administration du 9 avril 2019. Les procédures d'audit sur les comptes consolidés 2018 ont été effectuées par les commissaires aux comptes de la Société.

**Karen Pignet-Aiach, Fondatrice et Directeur Général de Lysogene, déclare :** « 2018 aura été une année importante pour Lysogene. La signature d'une collaboration stratégique avec Sarepta, leader mondial américain dans les maladies rares et les traitements innovants, valide l'approche stratégique, l'expertise et la capacité à délivrer de Lysogene. Les paiements associés à ce partenariat accroissent considérablement la capacité de financement de Lysogene. LYS-SAF302, la première thérapie génique pour la maladie de Sanfilippo Type A (MPS IIIA), fait actuellement l'objet d'une étude clinique pivot de phase 2/3 pour traiter cette maladie pédiatrique mortelle. De plus, des progrès importants ont été réalisés sur le portefeuille de programmes de Lysogene : nous anticipons l'obtention de l'IND pour le traitement de la gangliosidose GM1 avec LYS-GM101 au premier semestre 2020, et une collaboration externe a été signée pour compléter les travaux précliniques de notre nouveau candidat-médicament visant le besoin médical non satisfait du syndrome du X Fragile. »

## Information financière sélectionnée au 31 décembre 2018 (Comptes consolidés IFRS)

<i>En milliers d'euros</i>	<b>2018</b>	<b>2017</b>
Chiffre d'affaires	3 590	0
Autres produits d'exploitation	2 354	2 687
Frais de recherche et développement	(10 705)	(15 330)
Frais administratifs et commerciaux	(6 194)	(4 573)
<b>Résultat Opérationnel</b>	<b>(10 955)</b>	<b>(17 216)</b>
<b>Résultat net</b>	<b>(10 925)</b>	<b>(17 794)</b>
Résultat net par action (€)	(0,87)	(1,52)
Flux de trésorerie net liés aux activités opérationnelles	(9 393)	(14 615)
Flux de trésorerie net liés aux activités de financement	1 853	23 149
<b>Variation de la trésorerie nette</b>	<b>10 859</b>	<b>7 837</b>
<b>Trésorerie et équivalents de trésorerie à la clôture</b>	<b>24 952</b>	<b>14 089</b>

Lysogene a réalisé un chiffre d'affaires<sup>(1)</sup> de 3,59 M€ en 2018 (reconnaissance IFRS en lien avec le partenariat avec Sarepta, comme décrit dans les états financiers de la Société).

En 2018, les frais de recherche et développement se sont élevés à 10,7 M€ comparés à 15,3 M€ en 2017, principalement à la baisse pour les coûts d'études pré-cliniques, de fabrication de lots cliniques et de l'étude d'histoire naturelle sur LYS-SAF302, par rapport à 2017. Les frais généraux et administratifs s'élèvent à 6,2 M€ contre 4,5 M€ en 2017, une hausse concernant principalement les coûts exceptionnels enregistrés en 2018 relatifs au partenariat stratégique avec Sarepta.

Le résultat d'exploitation s'élevait à -10,9 M€ contre -17,2 M€ en 2017. Le résultat net s'élevait à -10,9 M€ en 2018 contre -17,8 M€ en 2017.

Au 31 décembre 2018, et suite à la signature de la collaboration globale avec Sarepta, la société disposait d'une trésorerie de 25 M€, lui permettant de financer pleinement l'étude clinique de phase 2/3 sur LYS-SAF 302.

<sup>(1)</sup> Conformément à la nouvelle norme IFRS 15 " Produits des activités ordinaires issus des contrats conclus avec des clients ", et après analyse avec ses auditeurs externes, Lysogene est désormais tenue de constater les produits relatifs au contrat de licence signé avec Sarepta. Le chiffre d'affaires doit être réparti au prorata des coûts directs internes et externes liés au développement du produit LYS-SAF302, depuis la date de signature du contrat de licence le 15 octobre 2018 jusqu'à la fin de l'essai clinique de phase 2/3 pour LYS-SAF302. Sur la base des coûts directs estimés sur la période du 15 octobre au 31 décembre 2018, qui représentent 7,7 % du total des coûts à terminaison, Lysogene a enregistré un chiffre d'affaires de 3,59 millions d'euros pour l'exercice 2018, correspondant à 7,7 % du prix de transaction, en tenant compte du montant des paiements d'avance et paiements d'étapes acquis ou hautement probables.

## Évènements importants survenus au cours de l'exercice 2018

### Partenariat structurant avec Sarepta

- En octobre 2018, Lysogène a conclu un accord de licence avec Sarepta Therapeutics Inc, une société américaine leader dans la médecine de précision génétique pour traiter des maladies rares, afin de développer le LYS-SAF302. L'accord confère en outre à Sarepta une option sur un autre candidat de thérapie génique de Lysogene ciblant le système nerveux central (SNC). Les termes de ce partenariat ont été précédemment annoncés le 15 Octobre 2018 et la collaboration progresse bien.

### Lancement de l'étude clinique internationale de Phase 2/3 (AAVance) sur LYS-SAF302 pour le traitement de la MPS de type IIIA

- En février 2018, Lysogene a obtenu un avis favorable du Comité Pédiatrique (Paediatric Committee, PDCO) de l'Agence Européenne des Médicaments (EMA) concernant le Plan d'Investigation Pédiatrique (PIP) de LYS-SAF302. Cette étape réglementaire importante a confirmé le plan de l'essai clinique à un seul bras de phase 2/3 dans la MPS IIIA. En conséquence de cette approbation, Lysogene est admissible à une extension d'exclusivité de commercialisation de 2 ans supplémentaires - en plus de l'exclusivité de commercialisation de 10 ans associée à la désignation de médicament orphelin accordée par l'EMA pour LYS-SAF302.
- En septembre 2018, la Food and Drug Administration (FDA) a approuvé le dossier d'Investigational New Drug (IND) autorisant le démarrage aux États-Unis de l'étude clinique internationale de Phase 2/3 (AAVance) sur le LYS-SAF302.
- En février 2019, Lysogene lance l'essai clinique de phase 2/3 (AAVance) évaluant la thérapie génique LYS-SAF302 dans la MPS IIIA (syndrome de Sanfilippo type A) avec le traitement du premier patient, déclenchant des paiements d'étape représentant un total de 18 M\$ (16 M€) de Sarepta à Lysogene.

### Avancement des autres programmes

- En avril 2018, Lysogene a élargi son portefeuille de programmes en nouant un partenariat en vue de développer une thérapie génique basée sur les AAV pour le traitement du syndrome de l'X Fragile, la plus fréquente des formes héréditaires de déficience intellectuelle et de troubles du spectre autistique. Ce programme sur le syndrome de l'X Fragile s'appuie sur l'expertise existante de Lysogene dans les maladies du SNC, et capitalise sur les capacités cliniques et de fabrication de l'entreprise.
- En juin 2018, Lysogene a tenu une réunion de conseil scientifique (Scientific Advice Meeting) avec l'Agence Européenne des Médicaments (EMA) permettant d'affiner le plan de développement de LYS-GM 101. L'obtention de l'inscription d'un nouveau médicament expérimental (Investigational New Drug, IND) auprès de la FDA est prévue au premier semestre 2020.

## Prochains rendez-vous financiers

- 22 avril 2019 (après bourse) : Chiffre d'affaires et trésorerie du 1<sup>er</sup> trimestre 2019
- 30 avril 2019 : Document de Référence 2018
- 26 juin 2019 : Assemblée Générale Ordinaire
- 25 juillet 2019 (après bourse) : Chiffre d'affaires et trésorerie du 2<sup>ème</sup> trimestre 2018

## À propos de Lysogene

Lysogene est une société biopharmaceutique spécialisée dans la thérapie génique ciblant les maladies du système nerveux central (SNC). La Société a acquis une compétence unique lui permettant de délivrer de manière sûre et efficace des thérapies géniques dans le SNC pour traiter des maladies de surcharge lysosomale et d'autres maladies génétiques du SNC. Lysogene mène actuellement une étude clinique pivot dans la MPS IIIA, en partenariat avec Sarepta Therapeutics, Inc., et une étude clinique de Phase I/II dans la gangliosidose à GM1 est en cours de préparation. Conformément à l'accord conclu entre Lysogene et Sarepta Therapeutics, Inc., Sarepta Therapeutics, Inc. détiendra les droits commerciaux exclusifs de LYS-SAF302 aux États-Unis et dans les marchés hors Europe, tandis que Lysogene maintiendra l'exclusivité commerciale de LYS-SAF302 en Europe. Lysogene travaille aussi avec un partenaire universitaire pour définir la stratégie de développement d'un traitement pour le syndrome de l'X Fragile, une maladie génétique liée à l'autisme.

[www.lysogene.com](http://www.lysogene.com).

## Contacts

Mathilde Bohin / Emmanuel Huynh  
NewCap  
[lysogene@newcap.eu](mailto:lysogene@newcap.eu)  
+ 33 1 44 71 94 94

## Déclarations prospectives de Lysogene

Ce communiqué de presse peut contenir des déclarations prospectives, notamment concernant la progression des essais cliniques de Phase 2/3 de la Société. Même si la Société considère que ses prévisions sont fondées sur des hypothèses raisonnables, toutes déclarations autres que des déclarations de faits historiques que pourrait contenir ce communiqué de presse relatives à des événements futurs sont sujettes (i) à des changements sans préavis, (ii) à des facteurs que la Société ne maîtrise pas et (iii) aux capacités financières de la Société. Ces déclarations peuvent inclure, sans que cette liste soit limitative, toutes déclarations commençant par, suivies par ou comprenant des mots ou expressions tels que « objectif », « croire », « prévoir », « viser », « avoir l'intention de », « pouvoir », « anticiper », « estimer », « planifier », « projeter », « devra », « peut avoir », « probablement », « devrait », « pourrait » et d'autres mots et expressions de même sens ou employés à la forme négative. Les déclarations prospectives sont sujettes à des risques intrinsèques et à des incertitudes hors du contrôle de la Société qui peuvent, le cas échéant, entraîner des différences notables entre les résultats, performances ou réalisations réels de la Société et ceux anticipés ou exprimés explicitement ou implicitement par lesdites déclarations prospectives. Une liste et une description de ces risques, aléas et incertitudes figurent dans les documents déposés par la société auprès de l'Autorité des Marchés Financiers (AMF) au titre de ses obligations réglementaires, y compris dans le document de référence 2017 de la Société, enregistré auprès de l'AMF le 4 juin 2018 sous le numéro R. 18-047, ainsi que dans les documents et rapports qui seront publiés ultérieurement par la Société. Par ailleurs, ces déclarations prospectives ne valent qu'à la date du présent communiqué de presse. Les lecteurs sont invités à ne pas se fier indûment à ces

déclarations prospectives. Sauf exigence légale, la Société ne reconnaît aucune obligation de mettre à jour publiquement ces déclarations prospectives, ni d'actualiser les raisons pour lesquelles les résultats avérés pourraient varier sensiblement des résultats anticipés par les déclarations prospectives, et ce y compris dans le cas où des informations nouvelles viendraient à être disponibles. La mise à jour par la Société d'une ou plusieurs déclarations prospectives n'impliquera pas qu'elle procédera ou non à d'autres actualisations de ces déclarations prospectives ou d'autres déclarations prospectives.

Ce communiqué de presse est publié à des fins d'information uniquement. Les informations qu'il contient ne constituent ni une offre de vente, ni une sollicitation d'offre d'achat ou de souscription de titres de la Société dans quelque juridiction que ce soit, en particulier en France. De la même façon, ce communiqué ne constitue pas un conseil en investissement et ne saurait être traité comme tel. Il n'a aucun lien avec les objectifs d'investissement, la situation financière ou les besoins spécifiques d'un quelconque destinataire. Il ne saurait priver les destinataires d'exercer leur propre jugement. Toutes les opinions exprimées dans ce document sont sujettes à modification sans préavis. La diffusion de ce communiqué de presse peut être encadrée par des dispositions restrictives du droit dans certaines juridictions. Les personnes qui viendraient à prendre connaissance du présent communiqué de presse sont tenues de se renseigner quant à ces restrictions et de s'y conformer.