



Un premier semestre 2019 crucial pour l'étude clinique de Phase 2-3 de Lysogene dans la MPS IIIA

- *Avancement de l'étude AAVance de Phase 2-3 dans la MPS IIIA en bonne voie avec sept enfants déjà traités en toute sécurité avec LYS-SAF302*
- *Achèvement de l'étude de 2 ans d'histoire naturelle dans la MPS IIIA qui servira comme bras témoin pour l'étude de Phase 2-3*
- *Lancement de PROvide, étude menée en parallèle utilisant la capture vidéo à domicile par téléphone mobile pour documenter la progression de la maladie chez les enfants traités dans l'étude de Phase 2-3*

PARIS – Le 05 septembre 2019 à 18h00 – Lysogene (FR0013233475 – LYS), société biopharmaceutique pionnière spécialisée dans la thérapie génique ciblant les maladies du système nerveux central (SNC), annonce aujourd'hui des avancées majeures dans son programme clinique sur le syndrome de Sanfilippo de type A (MPS IIIA).

« Avec le lancement de notre étude clinique de Phase 2-3 dans la MPS IIIA, le recrutement de la moitié des patients prévus dans le cadre de l'essai, ainsi que la fin de notre étude de 2 ans d'histoire naturelle de la maladie qui sera utilisée comme bras témoin, la première moitié de 2019 a été marquée par des avancées significatives. La MPS IIIA est une maladie dévastatrice qui touche de jeunes enfants et pour laquelle il n'existe à l'heure actuelle aucun traitement approuvé. L'engagement et l'investissement de l'équipe de Lysogene, de notre partenaire Sarepta, ainsi que des patients et des médecins pour fournir des traitements potentiellement révolutionnaires à ces patients sont sans précédent, » déclare Karen Aiach, Fondatrice et Président Directeur Général.

Développements cliniques pour la MPS IIIA au premier semestre 2019

Poursuite du recrutement dans l'étude AAVance de Phase 2-3 dans la MPS IIIA. L'étude AAVance est en cours, avec sept patients traités, trois autres patients en cours d'évaluation et en bonne voie pour atteindre l'inclusion complète des 20 patients d'ici le premier semestre 2020. Les patients souffrant de MPS IIIA et les communautés de médecins manifestent toujours un enthousiasme significatif.

Fin de l'étude de deux ans d'histoire naturelle dans la MPS IIIA. Les données, recueillies de manière rigoureuse et utilisant des outils d'évaluation robustes pour le principal critère cognitif d'évaluation, seront mises en commun avec des données publiées précédemment et serviront de bras témoin pour l'étude pivot de Phase 2-3 en cours.

Lancement de PROVide, une approche innovante pour enregistrer et mesurer les effets du traitement par thérapie génique dans l'étude de Phase 2-3. En tant que société issue de la communauté MPS IIIA, Lysogene a toujours placé les patients et leur famille au cœur de ses développements thérapeutiques. Dans ce cadre, Lysogene a élaboré une étude impliquant des entretiens qualitatifs avec les parents ou aidants à propos du changement post-traitement et une capture vidéo à domicile pour documenter la progression des enfants sur les caractéristiques de la maladie. Il s'agira d'un complément unique et précieux à l'ensemble des données d'efficacité clinique de la Phase 2-3, destiné à soutenir l'enregistrement, la valorisation et le remboursement de LYS-SAF302.

Lysogene continuera à communiquer sur les progrès cliniques de LYS-SAF302 au cours des prochains mois.

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

Contact

Mathilde Bohin / Emmanuel Huynh
NewCap / + 33 1 44 71 94 95
lysogene@newcap.eu

Déclaration prospective

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 2018 de la Société, enregistré auprès de l'AMF le 29 avril 2019 sous le numéro R.19-016, 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.