



Lysogene annonce la publication d'un article dans la revue scientifique "Molecular Therapy Methods & Clinical Development" démontrant le potentiel de son candidat-médicament LYS-SAF302

PARIS – 18 décembre 2019 à 18h00 – Lysogene (FR0013233475 - LYS), société biopharmaceutique pionnière de phase 3 spécialisée dans la thérapie génique ciblant les maladies du système nerveux central (SNC), annonce la publication d'un article scientifique décrivant les travaux précliniques réalisés avec LYS-SAF302, candidat-médicament actuellement en phase II/III (NCT03612869) pour le traitement de la mucopolysaccharidose de type IIIA (MPS IIIA).

« Dans cette publication, nous démontrons que LYS-SAF302 a été capable de corriger la pathologie de la maladie MPS IIIA dans le modèle murin et d'obtenir une expression et une distribution à la fois forte et étendue du transgène dans le cerveau des chiens et des primates non humains après administration intracérébrale. En extrapolant les résultats des études chez le chien et le singe au cerveau humain, il apparaît que la dose et le volume actuellement utilisés dans l'essai clinique permettraient de rétablir au moins 20% de l'activité SGSH normale dans le cerveau d'un patient atteint de la MPS IIIA, ce qui devrait avoir un impact positif significatif sur la progression de la maladie » déclare **Ralph Laufer, Directeur Scientifique de Lysogene**.

L'article, intitulé "**AAVrh10 vector corrects disease pathology in MPS IIIA mice and achieves widespread distribution of sulfamidase in the brain of large animals**" et publié dans la revue scientifique *Molecular Therapy Methods & Clinical Development* ([https://www.cell.com/molecular-therapy-family/methods/fulltext/S2329-0501\(19\)30146-9](https://www.cell.com/molecular-therapy-family/methods/fulltext/S2329-0501(19)30146-9)), présente les effets à long terme de LYS-SAF302 sur la pathologie lysosomale des souris atteintes de la MPS IIIA, ainsi que son expression et distribution dans le cerveau de deux espèces animales plus grandes : des chiens et des singes cynomolgus. LYS-SAF302 a été administré à des souris MPS IIIA âgées de 5 semaines à trois doses différentes (8,6E+08, 4,1E+10 et 9,0E+10 vg/animal) injectées dans les putamen/striatum et thalamus caudés. LYS-SAF302 a été capable, en fonction de la dose, de corriger ou de réduire significativement l'accumulation d'héparane sulfate (HS), l'accumulation secondaire des gangliosides GM2 et GM3, les lésions sphéroïdes axonales réactives à l'ubiquitine, l'expansion lysosomale et la neuroinflammation, à 12 semaines et à 25 semaines post-dose. Pour étudier la distribution de SGSH dans le cerveau d'animaux plus grands, LYS-SAF302 a été injecté dans la substance blanche sous-corticale de chiens (1,0 ou 2,0E+12 vg/animal) et de singes cynomolgus (7,2E+11 vg/animal). Des augmentations de l'activité enzymatique de la SGSH d'au moins 20% au-dessus des niveaux endogènes ont été détectées dans 78% (chiens 4 semaines après injection) et 97% (singes 6 semaines après injection) du volume total du cerveau. Ensemble, ces données valident l'administration intracérébrale d'AAV comme une méthode prometteuse pour obtenir une distribution enzymatique étendue et corriger la pathologie de la maladie dans la MPS IIIA.

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

Déclarations prospectives de Lysogene

Ce communiqué de presse peut contenir des déclarations prospectives, notamment concernant la progression des essais cliniques de Phase 2/3 et les prévisions de trésorerie 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, (iii) aux résultats des études cliniques, (iv) à des augmentations des coûts de production, et (v) à des réclamations potentielles sur ses produits. 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.

Contacts

Stéphane Durant des Aulnois
Directeur Administratif et Financier
stephane.durant-des-aulnois@lysogene.com
+ 33 1 41 43 03 99

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