



## COMMUNIQUE DE PRESSE

### Lysogene reçoit l'autorisation du MHRA et du Comité d'Ethique pour démarrer l'essai clinique de thérapie génique au Royaume-Uni avec LYS-GM101 dans le traitement de la gangliosidose à GM1

- **LYS-GM101 est le deuxième programme de thérapie génique de Lysogene ciblant le SNC à entrer en phase clinique**
- **Début du recrutement des patients au cours du 1<sup>er</sup> semestre 2021**

PARIS, France – 11 janvier 2021 à 8h00 – Lysogene (FR0013233475 – LYS), Société biopharmaceutique de phase 3 s'appuyant sur une plateforme technologique de thérapie génique ciblant les maladies du système nerveux central (SNC), annonce aujourd'hui avoir reçu l'autorisation du MHRA et du Comité d'Ethique pour démarrer l'essai clinique de thérapie génique au Royaume-Uni avec LYS-GM101 dans le traitement de la gangliosidose à GM1, une maladie pédiatrique grave et potentiellement mortelle. LYS-GM101 s'appuie sur l'expérience approfondie de Lysogene dans le développement clinique de thérapies géniques à base de virus viraux adéno-associés (AAV) ciblant directement le SNC.

Il s'agit de la première autorisation réglementaire obtenue dans le cadre de cet essai clinique global multicentrique, en ouvert, au design adaptatif en deux phases de LYS-GM101 chez des patients atteints des formes infantiles de la gangliosidose à GM1. La Société prévoit de traiter le premier patient au cours du premier semestre 2021.

*« Cette étude s'appuie sur l'expertise importante accumulée par Lysogene en matière de thérapie génique et de développement clinique des AAV. Comme les effets les plus néfastes de la gangliosidose à GM1 se produisent dans le cerveau et la moelle épinière, LYS-GM101 sera administré dans un espace rempli de liquide céphalorachidien à l'arrière de la tête, appelé la « grande citerne » (cisterna magna), afin qu'une quantité suffisante d'actifs thérapeutiques atteigne ces tissus. Je souhaite que l'étude nous fournisse des données démontrant le caractère potentiellement transformatif de LYS-GM101 »* a déclaré **Karen Aiach, Fondatrice et Président-Directeur Général de Lysogene**. *« LYS-GM101 est notre deuxième programme de thérapie génique entrant en phase clinique après LYS-SAF302 dans la MPS IIIA, auxquels s'ajoute un pipeline de recherche comprenant des candidats de thérapie génique pour le syndrome de l'X fragile, la maladie de Gaucher et la maladie de Parkinson ».*

LYS-GM101 ("vecteur viral adéno-associé de sérotype rh.10 exprimant la bêta-galactosidase") a reçu la désignation de médicament orphelin pour le traitement de la gangliosidose à GM1 dans l'Union Européenne et aux États-Unis en 2017, ainsi que la désignation de maladie pédiatrique rare aux États-Unis en 2016.

Les principaux centres internationaux de thérapie génique et de maladies de surcharge lysosomale prévoient de participer à l'essai clinique (NCT04273269).

Lysogene finance également une étude d'histoire naturelle sur la gangliosidose à GM1 menée par Casimir Trials afin de collecter des vidéos prospectives et/ou rétrospectives d'enfants atteints de la gangliosidose à GM1 infantile et juvénile effectuant certaines tâches et comportements quotidiens (NCT04310163).

### **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 de Phase 2/3 dans la MPS IIIA, en partenariat avec Sarepta Therapeutics, Inc., et une étude clinique de Phase 1/3 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)

### **À propos du Manchester University NHS Foundation Trust**

Le Manchester University NHS Foundation Trust est l'un des plus grands trusts du NHS en Angleterre et l'un des principaux fournisseurs de services de santé spécialisés. Ses neuf hôpitaux abritent des centaines de médecins et de membres du monde académique de renommée internationale qui se consacrent à trouver les meilleurs soins et traitements pour les patients. Pour plus d'informations, consultez le site [www.mft.nhs.uk](http://www.mft.nhs.uk).

### **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 d'enregistrement universel 2019 de la Société, enregistré auprès de l'AMF le 30 avril 2020 sous le numéro D.20-0427, 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.

### **Contacts**

Stéphane Durant des Aulnois  
Directeur Administratif et Financier  
[stephane.durant-des-aulnois@lysogene.com](mailto:stephane.durant-des-aulnois@lysogene.com)  
+ 33 1 41 43 03 99