



COMMUNIQUE DE PRESSE

Lysogene reçoit l'autorisation de la FDA pour démarrer l'essai clinique de thérapie génique aux Etats-Unis avec LYS-GM101 dans le traitement de la gangliosidose à GM1

- Deuxième pays à autoriser le démarrage de l'essai clinique après l'approbation récente de la MHRA au Royaume-Uni, autorisations d'autres pays en attente
- Début du recrutement des patients prévu au cours du 1^{er} semestre 2021

PARIS, France – 12 février 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 que l'agence réglementaire américaine (FDA) a approuvé sa demande d'Investigational New Drug (IND) pour LYS-GM101, son candidat médicament de thérapie génique 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 vecteurs viraux adéno-associés (AAV) ciblant directement le SNC.

Cette autorisation réglementaire de la FDA américaine fait suite à celle récemment accordée par la MHRA au Royaume-Uni. La Société entend lancer un 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. L'essai clinique comprendra une phase centrée sur l'analyse de la sécurité et une phase confirmatoire d'efficacité. La Société prévoit de traiter 16 patients au total, avec le traitement du premier patient attendu au cours du premier semestre 2021.

« Nous sommes très heureux de recevoir cette autorisation d'IND pour LYS-GM101 qui complète l'approbation de la MHRA reçue il y a quelques semaines. Elle constitue une étape majeure qui permet à notre deuxième programme de thérapie génique du SNC d'entrer dans un essai clinique mondial » a déclaré Karen Aiach, présidente fondatrice et directrice générale de Lysogene. « Cette autorisation démontre une nouvelle fois notre qualité et rapidité d'exécution, ainsi que notre forte détermination à apporter de nouvelles solutions thérapeutiques pour des maladies qui n'ont actuellement aucun traitement. »

Christine Waggoner, présidente et co-fondatrice de la Cure GM1 Foundation a ajouté : « *Les enfants atteints de gangliosidose à GM1 ont un véritable besoin médical non satisfait, et nous sommes ravis de voir une nouvelle option thérapeutique entrer en programme clinique, car elle apporte un immense espoir aux familles et à toute la communauté de la gangliosidose à GM1* ».

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 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. Une étude clinique adaptative 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 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

+ 33 1 41 43 03 99