

COMMUNIQUE DE PRESSE

Lysogene annonce le traitement du premier patient dans l'essai clinique de thérapie génique avec LYS-GM101 dans le traitement de la gangliosidose à GM1

- **Deuxième programme de Lysogene de thérapie génique ciblant les maladies du SNC à entrer en clinique**
- **Recrutement en cours d'un total de 16 patients au Royaume-Uni, aux États-Unis et en France**

PARIS, France – 09 juin 2021 à 18h00 – 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 le traitement du premier patient au *Royal Manchester Children's Hospital*, appartenant au *Manchester University NHS Foundation Trust*, dans le cadre de l'essai clinique global au design adaptatif avec LYS-GM101 (NCT04273269), une thérapie génique pour le traitement de la gangliosidose à GM1.

Cet essai est une étude interventionnelle, multicentrique, en ouvert, au design adaptatif en deux phases évaluant l'administration intra-cisternale d'un vecteur recombinant de virus adéno-associé de sérotype rh.10 (AAVrh.10) portant le gène de la β -galactosidase humaine (GBL1). L'essai clinique comprendra une phase centrée sur l'analyse de sécurité et une phase confirmatoire d'efficacité. L'essai inclura 16 patients atteints de la gangliosidose à GM1 infantile précoce ou tardive recrutés dans des centres aux États-Unis et en Europe. Pour plus d'information, voir le site www.clinicaltrials.gov.

La gangliosidose à GM1 est une maladie autosomale récessive mortelle causée par des mutations du gène GLB1 entraînant une accumulation de ganglioside à GM1 dans les neurones, ce qui provoque une neurodégénérescence progressive. Il n'existe aucun traitement approuvé pour cette maladie.

« Le traitement du premier patient de cette étude clinique représente une étape importante pour Lysogene, puisqu'il s'agit du deuxième programme de thérapie génique de notre portefeuille à entrer en clinique. Cela illustre une fois encore notre capacité d'exécution dans un contexte difficile du fait de la pandémie de Covid-19 », déclare Karen Aiach, Fondatrice et Présidente-Directrice générale de Lysogene. « Nous sommes toujours à la recherche d'opportunités pour accélérer le développement de nouveaux traitements de thérapie génique afin d'améliorer la vie des patients et nous sommes ravis d'apporter cette thérapie expérimentale aux patients atteints de gangliosidose à GM1. »

« La gangliosidose à GM1 est une maladie dévastatrice qui évolue rapidement, surtout dans sa forme la plus sévère où elle provoque une neurodégénérescence profonde et une mort précoce », déclare **Simon Jones, M.D.**, investigateur principal et consultant en maladies métaboliques héréditaires pédiatriques au **Royal Manchester Children's Hospital**, appartenant au **Manchester University NHS Foundation Trust (MFT)**, et maître de conférences à l'**Université de Manchester**. « Je suis ravi d'avoir commencé à traiter le premier patient avec LYS-GM101, dont l'administration s'est parfaitement déroulée ».

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.

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

À propos de Manchester University NHS Foundation Trust

Manchester University NHS Foundation Trust est l'une des plus grandes fondations NHS d'Angleterre et l'un des principaux fournisseurs de services de soins de santé spécialisés. Ses dix hôpitaux accueillent des centaines de cliniciens et de membres du personnel universitaire de renommée mondiale qui s'engagent à fournir aux patients les meilleurs soins et traitements.

Ses hôpitaux sont: Manchester Royal Infirmary, Saint Mary's Hospital, Royal Manchester Children's Hospital, Manchester Royal Eye Hospital, University Dental Hospital of Manchester, Trafford General, Altrincham Hospital, Wythenshawe Hospital, Withington Hospital, North Manchester General Hospital.

Pour plus d'information, voir le site www.mft.nhs.uk.

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 2020 de la Société, enregistré auprès de l'AMF le 12 avril 2021 sous le numéro D.21-0296, 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