



COMMUNIQUÉ DE PRESSE

Lysogene annonce la désignation Fast Track par la FDA pour le produit de thérapie génique LYS-GM101 dans la gangliosidose à GM1

Paris, France - Le 8 juillet 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 que la FDA (Food and Drug Administration) américaine a accordé la désignation *Fast Track* à son programme LYS-GM101, qui est en cours d'évaluation dans une étude clinique adaptative mondiale initiée récemment dans le traitement de la gangliosidose à GM1. La gangliosidose à GM1 est une maladie autosomique récessive létale due à des mutations du gène *GLB1* provoquant une accumulation de gangliosides GM1 dans les neurones, provoquant une neurodégénérescence progressive. À ce jour, il n'existe aucun traitement autorisé pour cette maladie.

Karen Aiach, Fondatrice et Présidente-Directrice Générale de Lysogene, déclare : « *Nous sommes heureux que la FDA ait accordé la désignation Fast Track à LYS-GM101 car cela souligne son potentiel pour améliorer les déficits neurocognitifs chez les enfants atteints de gangliosidose à GM1, une maladie neurologique létale pour laquelle il n'existe actuellement aucun traitement. Nous avons administré le produit au premier patient le mois dernier et le recrutement des autres patients est en bonne voie. Le traitement de la première cohorte devrait être terminé d'ici le premier trimestre de l'année prochaine.* »

La désignation *Fast Track* est conçue pour faciliter le développement clinique et accélérer l'examen de médicaments destinés à des affections graves et susceptibles de répondre à des besoins médicaux non satisfaits. Un médicament qui reçoit la désignation *Fast Track* est éligible à de plus fréquentes interactions avec la FDA, à la possibilité d'un processus d'approbation accéléré, à une revue prioritaire, et à une revue en continu de la demande d'autorisation de mise sur le marché (BLA, Biologics License Application).

« *Cette désignation Fast Track démontre l'intérêt constant des régulateurs pour la technologie de thérapie génique de pointe de Lysogene. Elle vient s'ajouter aux désignations de maladie pédiatrique rare et de médicament orphelin accordées par la FDA en 2016 et 2017* » ajoute **Marie Deneux, Directrice des Affaires Réglementaires de Lysogene**. « *Nous nous réjouissons de travailler en étroite collaboration avec la FDA sur le développement de LYS-GM101 comme premier médicament potentiel pour le traitement de la gangliosidose à GM1.* »

Cet essai est une étude interventionnelle, multicentrique, en ouvert, au design adaptatif en deux phases évaluant un vecteur recombinant de virus adéno-associé de sérotype rh.10 (AAVrh.10) portant le gène de la β -galactosidase humaine (*GLB1*) administré par voie intracisternale (NCT04273269). L'essai clinique comprend une phase centrée sur l'analyse de sécurité et une phase confirmatoire d'efficacité. Au total, 16 patients avec un diagnostic de gangliosidose à GM1 infantile précoce ou tardive seront recrutés dans des centres aux États-Unis et en Europe. Pour plus d'information, voir le site www.clinicaltrials.gov.

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. 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 a également conclu un accord exclusif de licence mondiale avec la SATT Conectus pour un candidat de thérapie génique dans le traitement du 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 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