

## COMMUNIQUE DE PRESSE

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

- **Deuxième patient traité dans le cadre de l'essai clinique global au design adaptatif avec LYS-GM101**
- **Recrutement en cours d'un total de 16 patients au Royaume-Uni, aux États-Unis et en France**

**PARIS, France – 30 août 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 le traitement du premier patient aux Etats-Unis avec le candidat-médicament de thérapie génique LYS-GM101, réalisé au *CHOC Hospital (CHOC)* dans le cadre de l'essai clinique global au design adaptatif (NCT04273269) 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  $\beta$ -galactosidase humaine (GLB1). 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/ct2/show/NCT04273269](http://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04273269).

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.

*« Nous sommes heureux des progrès réalisés avec nos équipes pour apporter une nouvelle solution thérapeutique aux patients et aux familles affectés par la gangliosidose à GM1 », déclare Karen Aiach, Fondatrice et Présidente-Directrice générale de Lysogene. « L'ouverture rapide d'un nouveau centre aux Etats-Unis et le traitement d'un deuxième patient démontrent notre qualité et rapidité d'exécution malgré un environnement toujours difficile dû au Covid-19. »*

*« La gangliosidose à GM1 est une maladie neurodégénérative évolutive qui touche les enfants et pour laquelle aucun traitement n'est actuellement disponible. Tous les membres de notre équipe de thérapie génique sont honorés et ravis de participer à cet important essai clinique »* déclare **Dr Raymond Wang, spécialiste des troubles du métabolisme et directeur du Foundation of Caring Lysosomal Storage Disorder Program au CHOC.**

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. 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](http://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](mailto:stephane.durant-des-aulnois@lysogene.com)

+ 33 1 41 43 03 99