



COMMUNIQUE DE PRESSE

Lysogene présente ses actualités cliniques

- **Traitement du troisième patient dans l'essai clinique global de thérapie génique avec LYS-GM101 dans la gangliosidose à GM1**
- **Lysogene nomme une nouvelle Directrice Médicale expérimentée, le Dr Marie Trad**
- **Deux présentations au programme du WORLDSymposium™ 2022 sur les nouvelles données de biomarqueurs de LYS-SAF302 et les données préliminaires de sécurité de LYS-GM101**

Paris, France — le 7 février 2022 à 08h00 — 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), présente aujourd'hui ses actualités cliniques.

Tout d'abord, Lysogene a traité le premier patient en France avec la thérapie génique expérimentale LYS-GM101 à l'hôpital Armand Trousseau (AP-HP). Il s'agit du troisième patient traité avec LYS-GM101 dans le cadre de l'essai clinique global au design adaptatif (NCT04273269) chez les enfants atteints de gangliosidose à GM1. Le recrutement du quatrième patient de la cohorte de sécurité est en cours, après quoi Lysogene initiera le traitement des 12 patients de la cohorte confirmatoire d'efficacité.

En outre, Lysogene a nommé une nouvelle Directrice Médicale expérimentée, le Dr Marie Trad, effectif au 1^{er} février 2022. Avec plus de trente ans d'expérience en matière de développement clinique et pharmaceutique dans le domaine des maladies neurologiques, le Dr Marie Trad, M.D., mettra à profit sa connaissance approfondie et son expertise pour piloter le développement clinique mondial des programmes de thérapie génique de Lysogene, des phases précoces aux étapes post-commercialisation. Le Dr Trad est une neurologue certifiée et une neuroradiologue diplômée de l'Université Pierre et Marie Curie, à Paris, en France. Après plus de dix ans de pratique clinique, le Dr Trad a rejoint l'industrie biopharmaceutique en 2000, où elle a occupé différents postes de direction, à la fois au sein de sociétés biopharmaceutiques et de CROs. Ses compétences pluridisciplinaires, son expérience significative en neuroradiologie, et ses solides relations avec les centres cliniques spécialisés et les principaux leaders d'opinion, constituent un véritable atout stratégique pour l'équipe de Lysogene.



Enfin, Lysogene donnera deux présentations orales à l'occasion du WORLDSymposium™ 2022, qui se tiendra du 7 au 11 février 2022, à San Diego aux Etats-Unis. Dr Ralph Laufer, Directeur Scientifique de Lysogene, présentera de nouvelles données de biomarqueurs de l'essai clinique AAVance en cours chez les enfants atteints de MPS IIIA. Karen Aiach, Présidente Directrice Générale de Lysogene, présentera les données préliminaires de sécurité de l'essai clinique global au design adaptatif en cours chez les enfants atteints de gangliosidose à GM1.

*« Nous sommes très heureux d'avoir ouvert ce site de renom en France et d'avoir pu traiter avec LYS-GM101 un troisième enfant atteint de gangliosidose à GM1. Notre étude avance bien et nous avons hâte de finaliser le recrutement de la cohorte de sécurité, ce qui constituera une étape importante pour cette étude », a déclaré **Karen Aiach, Fondatrice et Présidente-Directrice Générale de Lysogene.** « Les nouvelles données que nous présenterons cette année au WORLDSymposium™ démontrent les progrès que nous avons réalisés avec nos deux essais cliniques, et confirment le statut de Lysogene en tant qu'acteur majeur des maladies de surcharge lysosomales. Nous allons continuer à nous concentrer sur l'exécution clinique, et l'arrivée de Marie Trad en tant que Directrice Médicale, qui nous apporte de nombreuses années d'expérience dans le développement clinique et une expertise pointue en neurologie, est un formidable atout pour Lysogene ».*

*« Nous sommes ravis de collaborer une nouvelle fois avec Lysogene dans le cadre de cet essai de thérapie génique », a déclaré **le Dr Bénédicte Heron, neuropédiatre à l'hôpital Armand Trousseau (AP-HP), Paris, France.** « La gangliosidose à GM1 est une maladie orpheline dévastatrice qui entraîne une neurodégénérescence rapide et sévère, c'est pourquoi il est crucial d'apporter un traitement spécifique à ces enfants ainsi qu'à leurs familles. »*

Présentations orales au WORLDSymposium™ 2022 :

Jeudi 10 février 2022 – 10h30 PST (19h30 CET)

- Etude évaluant l'administration intra-cisternale d'un vecteur recombinant de virus adéno-associé de sérotype rh.10 portant le gène de la β -galactosidase humaine (GBL1) dans le traitement de la gangliosidose à GM1 : Résultats préliminaires de la cohorte de sécurité
- Présentation : Karen Aiach, Présidente et Directrice Générale de Lysogene

Jeudi 10 février 2022 – 14h00 PST (23h00 CET)

- Étude de thérapie génique AAVance chez des enfants atteints de mucopolysaccharidose de type IIIA
- Présentation : Dr Ralph Laufer, Directeur Scientifique de Lysogene

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. Une étude clinique adaptative dans la gangliosidose à GM1 est en cours. 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, (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