



COMMUNIQUÉ DE PRESSE

Lysogene publie des résultats précliniques préliminaires positifs dans le traitement du syndrome de l’X fragile

Paris, France — le 21 avril 2022, à 08h00 — Lysogene (FRO013233475 – 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 la publication d’un article dans EMBO Molecular Medicine (Habbas et al., EMBO Mol Med (2022) e14649) démontrant que la diacylglycérol kinase (DGKk) délivrée par vecteur viral adéno-associé (AAV) permet une correction à long-terme des syndromes de l’X fragile (FXS) observés dans le modèle murin de la maladie.

L’article peut être consulté à l’adresse suivante :

<https://www.embopress.org/doi/full/10.15252/emmm.202114649>.

Le syndrome de l’X fragile est une maladie génétique rare qui affecte environ 1 garçon sur 4 000 à 5 000 et 1 fille sur 8 000. Selon les estimations, elle touche environ 110 000 personnes en Europe et environ 70 000 personnes aux États-Unis. Le FXS est causé par une mutation du gène FMR1 en amont de la production de la protéine FMRP (« Fragile X Mental Retardation Protein »). Cette protéine joue un rôle clé dans le développement des synapses, c’est-à-dire les connexions entre les cellules nerveuses qui transmettent les signaux nerveux. Les dommages causés sur le fonctionnement du système nerveux provoquent une variété de troubles sérieux de la cognition et du comportement des patients.

Le laboratoire du Dr Hervé Moine à l’IGBMC de Strasbourg, France, a découvert que la diacylglycérol kinase kappa (DGKk), une cible ARNm principale de la FMRP dans les neurones corticaux et un régulateur principal de la signalisation lipidique, est dérégulée en l’absence de FMRP dans le cerveau du modèle de souris Fmr1-KO. Ces études, qui sont le résultat d’une collaboration entre Lysogene et le laboratoire du Dr Moine, le CNRS, l’INSERM et l’ICM, montrent que l’administration par vecteur AAV d’une forme modifiée et indépendante de la FMRP de DGKk corrige l’homéostasie cérébrale anormale du diacylglycérol/acide phosphatidique et les phénotypes comportementaux liés au FXS chez la souris Fmr1-KO.



Ces données suggèrent que la DGKk joue un rôle important dans la pathogenèse du syndrome de l’X fragile et elles constituent une preuve de concept préclinique selon laquelle son remplacement pourrait être une stratégie thérapeutique efficace dans le syndrome de l’X fragile.

Ralph Laufer, Directeur scientifique de Lysogene a commenté : « *Ces résultats précliniques confirment la validité de notre approche innovante ciblant DGKk pour le traitement du FXS, une pathologie du SNC dont les besoins médicaux non satisfaits sont importants. Nous sommes impatients d’initier les nouvelles études précliniques qui nous permettront d’approfondir ces résultats* »

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