



COMMUNIQUE DE PRESSE

Lysogene fait un point d'étape sur l'étude clinique de phase 2/3 AAVance avec la thérapie génique LYS-SAF302 pour le traitement de la MPS IIIA lors de la 25^e réunion annuelle de l'ASGCT

- **Données d'efficacité encourageantes chez les jeunes patients avec une amélioration ou une stabilisation durable des 3 principaux domaines de développement (cognition, motricité et langage) chez tous les patients recrutés avant l'âge de 30 mois**
- **Résultats complets et définitifs à 24 mois de la cohorte principale de l'étude pivot attendus au T3 2022, ainsi que ceux de l'étude vidéo complémentaire PROVide**
- **Discussions à venir avec les autorités réglementaires sur les prochaines étapes**

Paris, France — le 18 mai 2022 à 8h00 — 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), a présenté des données cliniques actualisées de l'essai clinique de phase 2/3 AAVance en cours avec la thérapie génique expérimentale LYS-SAF302 pour le traitement de la MPS IIIA (NCT03612869) lors de la 25^e réunion annuelle de l'ASGCT (American Society for Gene & Cell Therapy) à Washington, DC.

Les résultats préliminaires de l'étude AAVance évaluant LYS-SAF302 chez des patients atteints du syndrome de Sanfilippo de type A (MPS IIIA) suivis pendant au moins deux ans ont montré une amélioration, une stabilisation ou un ralentissement du déclin de l'âge de développement cognitif (DA) chez environ la moitié des patients. En particulier, chez les 6



patients recrutés avant l'âge de 30 mois, il a été observé dans les 24 mois suivant le traitement une augmentation ou une stabilisation durable des domaines cognitif, du langage et de la motricité selon le BSID-III. Deux (2) de ces 6 patients, dont l'un est âgé de plus de 4 ans, ont déjà dépassé de plusieurs mois le DA cognitif le plus élevé observé dans la cohorte d'histoire naturelle (35 mois). Les 2 patients ont atteint respectivement 41 et 42 mois de DA cognitif au cours des 24 mois post-traitement, avec une augmentation respective de 25 et 17 mois par rapport à leur visite d'inclusion dans l'étude.

Ces résultats, qui suggèrent que les jeunes patients répondent davantage au traitement de thérapie génique, doivent être corroborés et confirmés par les analyses statistiques définitives. Ils comprendront également des critères secondaires de comportement et d'imagerie ainsi que les données de l'étude observationnelle menée chez des enfants traités avec LYS-SAF302 à l'aide de vidéos et d'entrevues avec les parents (également appelée étude PROVide [Patient Reported Outcome Videos]). Les résultats complets seront disponibles au 3^e trimestre 2022.

Compte tenu de ces signaux d'efficacité encourageants et de la tendance générale observée à la stabilisation et/ou à la diminution du volume total des lésions dans la substance blanche aux points d'injection à partir de 12 mois après le traitement, et en l'absence de conséquences cliniquement significatives apparentes, la société prévoit de nouvelles discussions avec les autorités réglementaires afin de déterminer les prochaines étapes.

Karen Aiach, Fondatrice et Présidente-Directrice Générale de Lysogene a déclaré :
« Nous sommes heureux de partager ces résultats d'efficacité prometteurs chez les patients traités avec LYS-SAF302 après une période de suivi de 2 ans. Ces données montrent des signaux encourageants d'efficacité sur le développement cognitif, du langage et de la motricité des jeunes patients. Nous sommes impatients de confirmer et d'étayer ces observations en analysant toutes les données recueillies depuis le début de l'étude, y compris les critères secondaires de comportement et d'imagerie ainsi que les observations dans la vie réelle évalués par l'étude vidéo. Après cette analyse complète attendue au 3^e trimestre de cette année, nous disposerons de tous les éléments nécessaires pour discuter de la marche à suivre avec les autorités réglementaires. » **Karen Aiach a ajouté :** « Ces résultats prometteurs vont soutenir notre effort de recherche de financement, qui reste notre priorité. Dans un contexte de conditions de marché difficiles pour les sociétés innovantes des sciences de la vie, Lysogene examine en permanence toutes les options disponibles pour étendre sa visibilité financière. »



AAVance est une étude multicentrique ouverte à un seul bras visant à évaluer l'efficacité chez des enfants atteints de MPS IIIA d'une administration intracérébrale unique du gène codant la N-sulfoglucosamine sulfohydrolase (SGSH), en utilisant comme vecteur le virus adéno-associé recombinant AAVrh.10 (LYS-SAF302, olenasufigene relduparvovec). La MPS IIIA est due à la présence de mutations sur le gène SGSH codant pour une enzyme nécessaire au catabolisme de l'héparane sulfate. En délivrant une copie fonctionnelle du gène SGSH directement dans le cerveau, LYS-SAF302 pourrait permettre à celui-ci de produire l'enzyme manquante.

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 développe également une approche innovante de thérapie génique AAV pour le traitement du syndrome de l'X fragile, une maladie génétique liée à l'autisme. La Société a par ailleurs signé un accord exclusif de licence mondiale avec Yeda, l'entité commerciale du Weizmann Institute of Science, pour un candidat médicament de thérapie génique dans le traitement des maladies de Gaucher et de Parkinson associées à des mutations du gène GBA1. 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 2021 de la Société, enregistré auprès de l'AMF le 19 avril 2022, 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