

COMMUNIQUÉ DE PRESSE

Cellecctis dévoile une approche de thérapie génique non-virale pour traiter la drépanocytose dans Nature Communications

New York, NY – le 12 juin 2024 - Cellecctis (Euronext Growth: ALCLS - Nasdaq: CLLS), société de biotechnologie de stade clinique, qui utilise sa technologie pionnière d'édition de génome TALEN® pour développer de potentielles thérapies innovantes pour le traitement de maladies graves, annonce aujourd'hui la publication d'un article dans *Nature Communications*, dévoilant une approche de thérapie génique non-virale pour traiter la drépanocytose.

La drépanocytose est l'une des maladies héréditaires les plus répandues dans le monde. Elle est causée par une mutation du gène *HBB*, qui code pour la sous-unité β de l'hémoglobine (Hb). Normalement, les globules rouges adoptent une forme de disque qui leur permet de se déplacer facilement dans les vaisseaux sanguins et d'apporter de l'oxygène à l'ensemble du corps. Dans la drépanocytose, les globules rouges prennent la forme d'une faucille, un état dysfonctionnel qui entrave la circulation sanguine et l'apport d'oxygène aux tissus, déclenche des crises vaso-occlusives, dont des accidents vasculaires cérébraux, et entraîne des crises de douleur intense.

Cellecctis s'appuie sur la technologie TALEN® et sur un modèle non-viral de réparation de gènes pour développer un processus d'édition du génome cliniquement pertinent dans les cellules souches et progénitrices hématopoïétiques (CSPH). Ce processus permet une correction efficace et très précise du gène *HBB*, une grande spécificité et un minimum d'effets indésirables génomiques.

L'application de ce processus de correction du gène *HBB* aux cellules souches et progénitrices hématopoïétiques de patients atteints de drépanocytose permet d'obtenir une expression de plus de 50% de l'hémoglobine adulte normale dans les globules rouges matures et de corriger le phénotype drépanocytaire, sans induire de phénotype β -thalassémique. Les CSPH éditées se greffent efficacement en modèle murin immunodéficient et maintiennent des niveaux cliniquement pertinents d'événements de correction du gène *HBB*. Cet ensemble de données précliniques ouvre la voie à l'application thérapeutique des CSPH autologues génétiquement éditées dans le traitement de la drépanocytose.

"La combinaison unique de la technologie TALEN®, la conception de séquence d'ADN réparatrices non virales et du système d'électroporation propriétaire PulseAgile de Cellecctis nous a permis de mettre en place un processus précis, efficace et cliniquement pertinent de correction du gène *HBB* dans des cellules souches et progénitrices hématopoïétiques provenant de patients atteints de drépanocytose ", a déclaré Julien Valton, Ph.D., Vice-président Gene Therapy à Cellecctis. "La drépanocytose est une maladie du sang dévastatrice qui touche des millions d'individus dans le monde. Une approche de thérapie génique via TALEN® pourrait représenter une nouvelle alternative de traitement, en particulier pour les

patients dont les options thérapeutiques sont limitées. Ce processus d'édition du génome présente un fort potentiel thérapeutique car il pourrait être facilement utilisé pour corriger des mutations associées à beaucoup d'autres maladies génétiques."

Les données de recherche démontrent que :

- La technologie TALEN®, associée à l'administration d'une matrice de correction de l'ADN non virale, permet d'obtenir des efficacités élevées de correction du gène *HBB* dans les cellules souches hématopoïétiques de donneurs sains et de patients atteints de drépanocytose *in vitro*.
- La correction du gène *HBB* se traduit par une réhabilitation efficace de l'hémoglobine adulte fonctionnelle (HbA), une diminution significative de l'hémoglobine drépanocytaire dysfonctionnelle (HbS) et des globules rouges drépanocytaires.
- L'activité de la nucléase TALEN® est hautement spécifique, un seul site hors cible ayant été détecté au locus HBD.
- Les CSPH corrigées présentent une capacité de greffe *in vivo* à long terme dans un modèle animal murin, ce qui indique leur fort potentiel pour des applications thérapeutiques contre la drépanocytose.

L'article est disponible sur le site de Nature Communications en cliquant sur ce lien : <https://doi.org/10.1038/s41467-024-49353-3>

À propos de Collectis

Collectis est une société de biotechnologie au stade clinique, qui utilise sa technologie pionnière d'édition de génome TALEN® pour développer des thérapies innovantes pour le traitement de maladies graves. Collectis développe, les premiers produits thérapeutiques d'immunothérapies allogéniques fondées sur des cellules CAR-T, inventant le concept de cellules CAR-T ingénierées sur étagère et prêtes à l'emploi pour le traitement de patients atteints de cancer, et une plateforme permettant de réaliser des modifications génétiques thérapeutiques dans les cellules souches hématopoïétiques dans diverses maladies. En capitalisant sur ses 24 ans d'expertise en ingénierie des génomes, sur sa technologie d'édition du génome TALEN® et sur la technologie pionnière d'électroporation PulseAgile, Collectis développe des produits candidats innovants en utilisant la puissance du système immunitaire pour traiter des maladies dont les besoins médicaux ne sont pas satisfaits. Le siège social de Collectis est situé à Paris. Collectis est également implantée à New York et à Raleigh aux États-Unis.

Collectis est cotée sur le marché Euronext Growth (code : ALCLS) ainsi que sur le Nasdaq Global Market (code : CLLS).

Pour en savoir plus, visitez notre site internet : www.collectis.com

Suivez Collectis sur les réseaux sociaux : @collectis, LinkedIn et YouTube.

TALEN® est une marque déposée, propriété de Collectis.

Avertissement :

Ce communiqué de presse contient des déclarations "prospectives" au sens des lois sur les valeurs mobilières applicables, notamment le Private Securities Litigation Reform Act de 1995. Les déclarations prospectives peuvent être identifiées par des mots tels que "a le potentiel " et " pourrait" ou "potentiel," ou la forme négative de ces expressions et d'autres expressions similaires. Ces déclarations prospectives sont fondées sur les attentes et les hypothèses actuelles de notre direction et sur les informations dont elle dispose actuellement. Les déclarations prospectives comprennent des déclarations sur le potentiel de programmes de recherche et développement. Ces déclarations prospectives sont faites à la lumière des informations dont nous disposons actuellement et sont soumises à de nombreux risques et incertitudes, notamment en ce qui concerne les nombreux risques associés au développement de produits candidats biopharmaceutiques. En outre, de nombreux autres facteurs importants, y compris ceux décrits dans notre rapport annuel sur le formulaire 20-F et le rapport financier (y compris le rapport de gestion) pour l'exercice clos le 31 décembre 2023 et les documents ultérieurs déposés par Collectis auprès de la Securities Exchange Commission de temps à autre, qui sont disponibles sur le site Web de la SEC à l'adresse www.sec.gov, ainsi que d'autres risques et incertitudes connus et inconnus, peuvent avoir un effet négatif sur ces déclarations prospectives et faire en sorte que nos résultats, performances ou réalisations réels soient sensiblement différents de ceux exprimés ou sous-entendus par les déclarations prospectives. Sauf si la loi l'exige, nous n'assumons aucune obligation de mettre à jour publiquement ces déclarations prévisionnelles, ou de mettre à jour les raisons pour lesquelles les résultats réels pourraient différer sensiblement de ceux prévus dans les déclarations prévisionnelles, même si de nouvelles informations deviennent disponibles à l'avenir.

Pour de plus amples informations sur Collectis, veuillez contacter :**Contacts média :**

Pascalynne Wilson, Director, Communications +33 (0)7 76 99 14 33, media@collectis.com

Patricia Sosa Navarro, Chief of Staff to the CEO, +33 (0)7 76 77 46 93,

Contacts pour les relations avec les investisseurs :

Arthur Stril, directeur financier par intérim +1 (347) 809 5980, investors@collectis.com

Sandya von der Weid, Associate Director, LifeSci Advisors, +41 786 80 05 38