



**Lysogene annonce le traitement du premier patient en Europe dans l'essai clinique de phase II/III AAVance avec LYS-SAF302, traitement de thérapie génique de la maladie de Sanfilippo de Type A (MPS IIIA)**

-- L'essai de phase II/III a démarré aux États-Unis, où des patients sont traités depuis février 2019 --  
-- Étendu à l'Europe, il évalue l'efficacité sur le statut neurodéveloppemental des patients souffrant de la MPS IIIA --

**PARIS, France – Le 11 juin 2019, à 22h00** - Lysogene (FR0013233475 – LYS), société biopharmaceutique pionnière spécialisée dans la thérapie génique ciblant les maladies du système nerveux central (SNC), annonce aujourd'hui le traitement d'un premier patient en Europe dans le cadre de l'essai de phase II/III AAVance avec LYS-SAF302, traitement de thérapie génique de la mucopolysaccharidose de type IIIA (MPS IIIA). Lysogene et son partenaire commercial pour LYS-SAF302, Sarepta Therapeutics, avaient annoncé en début d'année le traitement du premier patient de cet essai clinique aux États-Unis.

AAVance est un essai ouvert évaluant l'innocuité et l'efficacité d'une administration unique d'un vecteur viral adéno-associé rh.10 portant le gène de la N-sulfoglucosamine sulfohydrolase (SGSH). La MPS IIIA est due à des mutations du gène SGSH, qui est impliqué dans la production d'une enzyme nécessaire à la dégradation et à l'élimination des molécules de sucre à longue chaîne. Le but de cette thérapie est l'amélioration ou la stabilisation probante du statut neurodéveloppemental des patients atteints de MPS IIIA, en permettant aux cellules du cerveau de sécréter l'enzyme manquante. Dans le cadre de l'essai clinique, l'objectif est d'inclure 20 patients sur huit sites aux États-Unis et en Europe. Des informations plus détaillées sont disponibles sur le site [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov) (NCT03612869).

*« Le traitement d'un premier patient en Europe dans l'essai AAVance est une étape importante dans la lutte contre cette maladie neurodégénérative à la progression inexorable »* déclare Karen Aiach, Fondatrice et Directeur Général de Lysogene. *« Les observations préliminaires d'AAVance sont à ce stade encourageantes, et nous nous réjouissons de pouvoir apporter ce traitement en cours d'élaboration à des patients en Europe. »*

*« La MPS IIIA est une maladie neurologique mortelle avec des symptômes débilitants pour laquelle il n'existe actuellement aucun traitement approuvé »* déclare le Professeur Frits Wijburg du centre médical universitaire de l'Université d'Amsterdam, investigateur principal d'AAVance. *« L'espoir de pouvoir changer la vie de ces enfants est extrêmement motivant. »*

*« Nous sommes particulièrement heureux d'avoir pu administrer LYS-SAF302 à un premier patient en Europe. Une étape importante a, ainsi, été franchie dans la recherche d'un traitement à prise unique contre la MPS IIIA »* déclare le Professeur Michel Zerah de l'Hôpital Necker Enfants Malades à Paris.

## **À propos de MPS IIIA**

La MPS IIIA est une maladie neurodégénérative rare de surcharge lysosomale d'origine génétique qui touche environ 1 nouveau-né sur 100 000. Transmise sur un mode autosomique récessif, elle est caractérisée par des troubles du comportement et une régression intellectuelle sévère, causant le décès prématuré des patients. Elle est due à des mutations du gène SGSH codant l'enzyme héparane sulfamidase nécessaire au recyclage de l'héparane sulfate (HS) dans les cellules. La perturbation de la dégradation lysosomale et la surcharge en HS et glycolipides en résultant, comme les gangliosides, induit une neuro-dégénérescence prononcée. Il n'existe pas aujourd'hui d'options thérapeutiques pour les patients.

## **À propos de LYS-SAF302**

LYS-SAF302 est une thérapie génique utilisant un vecteur AAV qui vise à remplacer le gène SGSH déficient par une copie fonctionnelle. Le vecteur AAVrh10 a été choisi pour LYS-SAF302 car il est particulièrement apte à cibler le SNC. Les modèles précliniques ont apporté la preuve de concept dans la MPS IIIA, mettant en évidence la vigueur de l'expression, l'étendue de la distribution et la capacité de la molécule à corriger la surcharge lysosomale en produisant l'enzyme manquante. Les résultats d'innocuité des études réglementaires BPL de biodistribution et de toxicité ont montré qu'à tous les dosages testés, LYS-SAF302 n'était associé à aucune mortalité inattendue, modification d'aspects cliniques, du poids, du comportement, ni à aucune anomalie acroscopique dans le cerveau. Sarepta Therapeutics détient les droits commerciaux exclusifs de LYS-SAF302 aux États-Unis et sur les marchés hors d'Europe, et Lysogene conserve l'exclusivité commerciale de LYS-SAF302 en Europe.

## **À propos de Lysogene**

Lysogene est une société de thérapie génique spécialisée dans les maladies rares du système nerveux central (SNC). Lysogene a développé une approche unique permettant d'administrer de manière efficace et en toute sécurité des thérapies géniques dans le SNC afin de traiter les maladies lysosomales et d'autres pathologies génétiques du SNC. Une étude pivot dans la MPS IIIA et le démarrage d'une étude clinique de phase 1-2 dans la Gangliosidose à GM1 sont en cours de préparation. Lysogene collabore également avec un partenaire de référence à la définition de la stratégie de développement clinique d'un traitement de thérapie génique visant le syndrome de l'X Fragile, une maladie génétique appartenant au spectre de l'autisme. [www.lysogene.com](http://www.lysogene.com)

## **Déclarations prospectives de Lysogene**

Ce communiqué de presse peut contenir des déclarations prospectives, notamment sur la capacité de la Société de conclure une transaction stratégique, ou un potentiel partenariat pour un ou plusieurs de ses produits. 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 et (iii) aux capacités financières de la Société. 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 de référence 2018 de la Société, enregistré auprès de l'AMF le 29 avril 2019 sous le numéro R. 19-016, 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. Ce communiqué de presse est publié à des fins d'information uniquement. Les informations qu'il contient ne constituent ni une offre de vente, ni une sollicitation d'offre d'achat ou de souscription de titres de la Société dans quelque juridiction que ce soit, en particulier en France. De la même façon, ce communiqué ne constitue pas un conseil en investissement et ne saurait être traité comme tel. Il n'a aucun lien avec les objectifs d'investissement, la situation financière ou les besoins spécifiques d'un quelconque destinataire. Il ne saurait priver les destinataires d'exercer leur propre jugement. Toutes les opinions exprimées dans ce document sont sujettes à modification sans préavis. La diffusion de ce communiqué de presse peut être encadrée par des dispositions restrictives du droit dans certaines juridictions. Les personnes qui viendraient à prendre connaissance du présent communiqué de presse sont tenues de se renseigner quant à ces restrictions et de s'y conformer.

## **Contacts**

### **Lysogene :**

Mathilde Bohin / Emmanuel Huynh

NewCap

[lysogene@newcap.eu](mailto:lysogene@newcap.eu)

+ 33 1 44 71 94 95