



Lysogene annonce la création d'un Conseil Scientifique consultatif composé d'experts internationaux en thérapie génique du SNC

PARIS, France – 18 juillet 2019, à 18h00 – Lysogene (FR0013233475 – LYS), société biopharmaceutique pionnière spécialisée dans la thérapie génique ciblant les maladies du système nerveux central (SNC), annonce aujourd'hui la création d'un Conseil Scientifique consultatif (SAB pour *Scientific Advisory Board*) composé d'experts de renom international dans la découverte et le développement de thérapies géniques.

« La thérapie génique utilisant des vecteurs de virus adéno-associés (AAV) recombinants est en train de changer le cours des maladies monogéniques auparavant incurables, » déclare Dr. Ronald Crystal, Président du département de médecine génétique et Professeur de médecine interne à Weill Cornell Medicine et membre du Conseil Scientifique consultatif nouvellement établi. *« Les approches directes au SNC ont démontré une innocuité et une tolérabilité prometteuses, avec la possibilité d'atteindre une excellente biodistribution dans le SNC. Je me réjouis de travailler avec Lysogene et les membres du SAB pour explorer davantage le potentiel de cette approche dans le traitement des maladies du SNC. »*

« La création de ce SAB démontre notre engagement à devenir une entreprise de premier plan dans le domaine de la thérapie génique du SNC, » poursuit le Dr Ralph Laufer, Directeur Scientifique chez Lysogene. *« La vision de ces experts de renommée internationale, dans ce domaine très prometteur, renforcera considérablement notre expertise et soutiendra notre objectif d'établir un nouveau paradigme dans le traitement des maladies neurologiques monogéniques. »*

Le SAB est un atout stratégique important pour Lysogene en apportant une expertise scientifique et des conseils à l'équipe alors que la Société continue de développer des candidats médicaments en thérapie génique pour le traitement des maladies du SNC, incluant LYS-SAF302 - actuellement en Phase 2-3 - pour le traitement de la maladie de Sanfilippo de Type A (MPS IIIA), LYS-GM101 - bientôt en Phase 1-2 - pour le traitement de la gangliosidose à GM1 et pour le programme préclinique de preuve de concept du syndrome de l'X fragile.

« Nous sommes ravis et privilégiés d'avoir l'opportunité de travailler avec cet éminent groupe d'experts pour le développement de nos thérapies géniques, » déclare Dr. Sophie Olivier, Directeur de Développement Clinique chez Lysogene. *« Ces leaders d'opinion apportent une connaissance approfondie du potentiel de la thérapie génique pour les maladies du SNC, ainsi qu'une vaste expérience allant de la découverte aux études cliniques avancées. Nous attendons avec impatience leurs contributions au fur et à mesure de l'avancement du pipeline de thérapie génique chez Lysogene. »*

Les membres du Conseil scientifique consultatif sont :

Nathalie Cartier-Lacave, Ph.D., Thérapie cellulaire et génique des maladies neurodégénératives, INSERM ICM (Institut du cerveau et de la colonne vertébrale). Le Dr Cartier-Lacave est Directrice de recherche à l'INSERM, où elle dirige le groupe "Biothérapies des maladies neurodégénératives". Le Dr Cartier-Lacave est également Présidente de la Société Européenne de Thérapie Génique et Cellulaire (ESGCT - *European Society of Gene and Cell Therapy*).

Ronald G. Crystal, M.D., Président du département de médecine génétique et Professeur de médecine interne à Weill Cornell Medicine. Le Dr Crystal a effectué des travaux pionniers sur les vecteurs adénoviraux et AAV, qui ont accéléré la transition de la thérapie génique du laboratoire de recherche à la clinique. Ses recherches actuelles portent sur l'optimisation des vecteurs de transfert de gènes viraux pour la thérapie génique *in vivo* des troubles cérébraux héréditaires et acquis. Le Dr Ronald Crystal est un consultant rémunéré par Lysogene. Il a également donné des conférences, avec un contrôle total du contenu, soutenu par Lysogene.

Steven Gray, Ph.D., professeur agrégé, Département de pédiatrie, UT Southwestern Medical Center. Le Dr Gray s'est spécialisé principalement dans l'ingénierie des vecteurs de thérapie génique AAV, puis dans l'optimisation des approches pour livrer un gène au système nerveux et dans les études précliniques et dans les études cliniques pour l'application des vecteurs AAV au développement de traitements pour les maladies neurologiques.

Chester Whitley, Ph.D., M.D., *University of Minnesota Medical School*, à Minneapolis. Le Dr Whitley est un leader d'opinion clé dans le domaine des maladies lysosomales, fondateur et directeur du *WORLDSymposium* et investigateur principal pour le réseau mondial des maladies lysosomales. Il a réalisé le premier essai clinique de thérapie génique pour une maladie mucopolysaccharidose (1998-9).

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 de manière sûre et efficace 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 pivot dans la MPS IIIA, en partenariat avec Sarepta Therapeutics, Inc., et une étude clinique de Phase I/II dans la gangliosidose à GM1 est en cours de préparation. Conformément à l'accord conclu entre Lysogene et Sarepta Therapeutics, Inc., Sarepta Therapeutics, Inc. détiendra les droits commerciaux exclusifs de LYS-SAF302 aux États-Unis et dans les marchés hors Europe, tandis que Lysogene maintiendra l'exclusivité commerciale de LYS-SAF302 en Europe. Lysogene travaille aussi avec un partenaire universitaire pour définir la stratégie de développement d'un traitement pour le syndrome de l'X Fragile, une maladie génétique liée à l'autisme. www.lysogene.com

Contact

Mathilde Bohin / Emmanuel Huynh
NewCap / + 33 1 44 71 94 95
lysogene@newcap.eu

Déclaration prospective

Ce communiqué de presse peut contenir des déclarations prospectives, notamment concernant la progression des essais cliniques de Phase 2/3 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 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.