

COMMUNIQUE DE PRESSE

Lysogene publie des données positives de biomarqueurs pour le LYS-SAF302

- **Diminution de la concentration d'héparane sulfate dans le liquide céphalo-rachidien**
- **Diminution des gangliosides GM2 et GM3 dans le liquide céphalo-rachidien**
- **Présentation des données complètes à la conférence WORLDSymposium™ 2021**

Paris, France — le 28 décembre 2020 à 08h00 — Lysogene (FR0013233475 – LYS), société biopharmaceutique de phase 3 s'appuyant sur une plateforme technologique de thérapie génique ciblant les maladies du système nerveux central (SNC), publie aujourd'hui des données positives sur les biomarqueurs avec le LYS-SAF302 dans l'essai clinique AAVance en cours pour le traitement de la MPS IIIA (NCT03612869).

Les changements de la concentration d'héparane sulfate (HS) dans le liquide céphalo-rachidien (LCR) sont suivis chez les patients traités avec le LYS-SAF302 pour démontrer l'activité biologique *in vivo* du médicament et la preuve de concept.

Les premiers résultats montrent, pour les neuf patients analysés jusqu'à présent, des réductions de la concentration de HS dans le LCR à 6 et 12 mois après le traitement avec le LYS-SAF302, par rapport aux valeurs avant traitement. Les réductions moyennes sont statistiquement hautement significatives. En revanche, aucun changement statistiquement significatif des concentrations sériques de HS n'a été observé après traitement par le LYS-SAF302. Ces résultats sont conformes à l'hypothèse selon laquelle le LYS-SAF302 a entraîné une forte réduction de HS entrant dans le LCR à partir du parenchyme cérébral, avec un effet limité ou nul sur les oligosaccharides dérivés de l'HS entrant dans le LCR à partir de sources extra-parenchymateuses, telles que les plexus choroïdes ou le sang.

En outre, des réductions statistiquement significatives des gangliosides GM2 et GM3, substances de surcharge secondaires considérées comme des contributeurs possibles aux dommages neuronaux dans les maladies de surcharge lysosomale, ont été observées dans le LCR des patients traités, par rapport aux valeurs avant traitement.

Ralph Laufer, Directeur Scientifique de Lysogene, déclare : « *Ces premiers résultats très encourageants prouvent l'effet biologique positif du traitement avec le LYS-SAF302 chez les patients inclus dans l'essai AAVance. La réduction du biomarqueur de l'HS provenant spécifiquement du système nerveux central est cohérent avec le mode d'administration intra-parenchymateux unique de Lysogene, qui nous permet de délivrer le médicament directement dans le cerveau, où l'accumulation de HS provoque les manifestations principalement neurologiques de la MPS IIIA. La réduction des substances de surcharge secondaires, les gangliosides GM2 et GM3, confirme l'activité biologique et le potentiel thérapeutique du LYS-SAF302. Nous suivrons avec intérêt la confirmation de ces résultats chez d'autres patients.* »

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 de Phase 2/3 dans la MPS IIIA, en partenariat avec Sarepta Therapeutics, Inc., et une étude clinique de Phase 1/3 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

Déclarations prospectives de Lysogene

Ce communiqué de presse peut contenir des déclarations prospectives, notamment concernant la progression des essais cliniques de Phase 2/3 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, et (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 2019 de la Société, enregistré auprès de l'AMF le 30 avril 2020 sous le numéro D.20-0427, 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 procèdera 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