



COMMUNIQUE DE PRESSE

Lyscogene reçoit le Passeport Innovation du MHRA au Royaume-Uni pour son programme sur la gangliosidose à GM1

- Cette démarche s'inscrit dans la récente initiative du MHRA britannique pour accélérer le développement et l'accès aux médicaments innovants au Royaume-Uni
- Cette désignation reflète une nouvelle fois la reconnaissance par les autorités réglementaires du potentiel du programme LYS-GM101 de Lyscogene dans le traitement des patients atteints de gangliosidose à GM1

Paris, France — le 20 décembre 2021 à 08h00 — Lyscogene (FR0013233475 – LYS), société biopharmaceutique de phase 3 s'appuyant sur une plateforme technologique de thérapie génique ciblant les maladies du système nerveux central (SNC), annonce aujourd'hui que l'agence réglementaire britannique MHRA (*Medicines and Healthcare products Regulatory Agency*) a accordé le Passeport Innovation pour sa thérapie génique expérimentale LYS-GM101 dans le traitement de la gangliosidose à GM1 dans le cadre de l'*Innovative Licensing and Access Pathway* (ILAP) du Royaume-Uni. La décision a été prise par le comité de pilotage de l'ILAP, qui est composé de représentants du MHRA, du NICE (*National Institute for Health and Care Excellence*), du SMC (*Scottish Medicines Consortium*), de l'AWTTC (*All Wales Therapeutics and Toxicology Centre*) et de représentants de l'ILAP Patient and Public Reference Group.

Le Passeport Innovation est le prérequis pour accéder à l'ILAP, conçu pour accélérer le développement et l'accès aux médicaments innovants prometteurs au Royaume-Uni, facilitant et améliorant ainsi l'accès des patients aux nouveaux médicaments.

« Nous sommes très heureux d'avoir obtenu le Passeport Innovation » a déclaré **Marie Deneux, Directrice des affaires réglementaires et assurance qualité de Lyscogene**. « S'assurer que les patients atteints de gangliosidose à GM1 bénéficient de LYS-GM101 est l'une des principales priorités de Lyscogene. Nous allons désormais travailler avec le MHRA et ses partenaires pour créer un profil de développement cible (TDP) spécifique au produit LYS-GM101, et permettre de faciliter l'accès des patients au traitement de thérapie génique. »

L'ILAP a été instauré par le MHRA en janvier 2021 et a pour but de faciliter le développement et l'accès des patients aux médicaments innovants prometteurs. La voie réglementaire implique une collaboration étroite avec les autres parties prenantes, y compris les représentants de patients. Les autres bénéfices de l'ILAP consistent en une évaluation accélérée de 150 jours, une revue en continu de la demande d'autorisation de mise sur le marché et une évaluation continue du ratio bénéfice-risque.

À propos de LYS-GM101

LYS-GM101 est en cours de développement clinique. P1-GM-101 (NCT04273269) est un essai clinique en ouvert, au design adaptatif en deux phases, mené dans quatre sites cliniques, dont un au Royaume-Uni, avec comme groupe contrôle les données d'histoire naturelle. Dans le cadre de l'essai P1-GM-101, une sous-étude sur les résultats vidéo et les entretiens avec les parents est en cours, dont les données seront complémentaires aux critères d'évaluation cliniques. En outre, une collecte de données d'étude d'histoire naturelle à partir d'interviews et d'évaluations vidéo des enfants atteints de gangliosidose à GM1 prises à domicile par les parents/soignants a été lancée début 2020 et se poursuit (NCT04310163). LYS-GM101 a également obtenu la désignation orpheline dans l'Union Européenne (UE) et aux États-Unis, ainsi que la désignation de maladie pédiatrique rare et la désignation « Fast Track » aux États-Unis.

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, en partenariat avec Sarepta Therapeutics, Inc. Une étude clinique adaptative dans la gangliosidose à GM1 est en cours. 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 a également conclu un accord exclusif de licence mondiale avec la SATT Conectus pour un candidat de thérapie génique dans le traitement du 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 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, et (vi) à une modification de la nature de ses accords avec la société Sarepta Therapeutics. 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 2020 de la Société, enregistré auprès de l'AMF le 12 avril 2021 sous le numéro D.21-0296, 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