



COMMUNIQUÉ DE PRESSE

Lysogene fait le point sur l'efficacité, la sécurité et le calendrier de l'étude clinique de phase 2/3 AAVance avec la thérapie génique LYS-SAF302 pour le traitement de la MPS IIIA

- Résultats préliminaires de la cohorte principale de l'étude clinique AAVance attendus au 3^{ème} trimestre 2022
- Stabilisation ou diminution de la taille des lésions dans la substance blanche observées aux points d'injection chez tous les patients à partir de 12 mois après le traitement
- Point sur le partenariat avec Sarepta

Paris, France — le 24 février 2022 à 07h30 — 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), fait aujourd'hui le point sur les résultats cliniques et le calendrier de l'étude clinique de phase 2/3 AAVance évaluant la thérapie génique expérimentale LYS-SAF302 pour le traitement de la MPS IIIA (NCT03612869).

AAVance est une étude multicentrique ouverte à un seul bras visant à évaluer l'efficacité chez des enfants atteints de MPS IIIA d'une administration intracérébrale unique du gène codant la N-sulfoglucosamine sulfohydrolase (SGSH), en utilisant comme vecteur le virus adéno-associé recombinant AAVrh.10 (LYS-SAF302, olenasufligere relduparvovec). La MPS IIIA est due à la présence de mutations sur le gène SGSH codant pour une enzyme nécessaire au catabolisme de l'héparane sulfate. En délivrant une copie fonctionnelle du gène SGSH directement dans le cerveau, LYS-SAF302 pourrait permettre à celui-ci de produire l'enzyme manquante.

Lors du WORLDSymposium™ 2022, la Société a présenté le 10 février 2022 des données positives de biomarqueurs démontrant l'activité biologique de LYS-SAF302, avec des réductions par rapport aux valeurs initiales de la concentration d'héparane sulfate et des gangliosides GM2 et GM3 dans le liquide céphalorachidien à partir de 6 mois après le traitement, ainsi que des réductions du taux sérique de neurofilaments à chaîne légère (NF-L), un biomarqueur des lésions axonales, à partir de 18 mois après le traitement.



Le recrutement et le traitement des patients dans la cohorte principale de l'étude ayant été achevés au 1^{er} trimestre 2020, le calendrier de l'étude AAVance n'a pas été affecté par la suspension clinique (*Investigational New Drug*) émise par la FDA américaine (*Food and Drug Administration*) en juin 2020. La Société prévoit de communiquer les données préliminaires de la cohorte principale au 3^{ème} trimestre 2022, ainsi que les résultats de l'étude observationnelle PROVide (*Patient Reported Outcome Videos*) menée sur des enfants traités avec LYS-SAF302, qui utilise un support vidéo et des entretiens avec les parents.

En ce qui concerne la sécurité de LYS-SAF302, la taille des lésions dans la substance blanche observées près des points d'injection des patients traités dans l'étude AAVance s'est stabilisée ou a diminué chez tous les patients à partir de 12 mois après le traitement selon les conclusions de l'analyse centrale d'IRM, et aucun symptôme clinique important n'a été directement attribué à ces lésions selon l'évaluation de la Société.

Sur la base de ces éléments encourageants et des résultats à venir qui permettront d'établir le profil bénéfico-risque global de LYS-SAF302, la Société discutera au 4^{ème} trimestre 2022 avec les autorités réglementaires de la voie à suivre.

« Encouragés par l'activité biologique du médicament mise en évidence par des données positives de biomarqueurs, nous attendons l'analyse prochaine de l'ensemble des données des patients inclus dans la cohorte principale de l'étude » déclare Karen Aiach, Fondatrice et Présidente-Directrice Générale de Lysogene. « Je suis très fière des progrès réalisés jusqu'à présent par nos équipes chez Lysogene. Au cours du 2^{ème} trimestre 2022, nous allons réaliser un travail important et approfondi de compilation et d'analyse de l'ensemble des données recueillies depuis trois ans, non seulement sur le développement cognitif, mais aussi sur le comportement, l'acquisition de compétences et la qualité de vie des patients. Nous attendons impatiemment la lecture prochaine des données afin de discuter de la voie à suivre avec les agences réglementaires. »

Point sur le partenariat avec Sarepta

Conformément à la résiliation de l'accord de licence annoncée le 13 janvier 2022, Lysogene a récupéré les droits mondiaux de développement et de commercialisation de LYS-SAF302. La résiliation de l'accord de licence sera effective le 11 juillet 2022.

En outre, le 9 février 2022, Lysogene a résilié l'accord d'approvisionnement avec Sarepta, qui restera effectif pendant un délai de 60 jours. Lysogene revoit actuellement sa stratégie de production commerciale en s'assurant de respecter le calendrier du programme.

Sarepta s'engage à conserver ses actions Lysogene jusqu'au 31 décembre 2022 dans le cadre d'un accord de résiliation du partenariat.

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. Une étude clinique adaptative dans la gangliosidose à GM1 est en cours. 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. 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