



## Lysogene publie ses résultats du 1<sup>er</sup> trimestre et fait le point sur son activité

- Elargissement du portefeuille de programme dans le SNC avec la signature d'un accord de collaboration pour le développement d'une thérapie génique pour le traitement du syndrome de l'X Fragile, première cause monogénique d'autisme, une indication dont les besoins médicaux importants restent non satisfaits
- LYS-SAF302 dans la MPS IIIA : toutes les études précliniques nécessaires à l'entrée en phase pivot et à *Investigational New Drug* (IND) ont été complétées avec des résultats positifs en matière d'efficacité et de toxicologie. Début de l'essai clinique pivot désormais programmé au second semestre 2018
- LYS-GM101 dans la Gangliosidose à GM1 : progression dans les études précliniques
- Renforcement de l'équipe de direction avec la nomination du Dr Ralph Laufer (Teva, Merck Inc.) en tant que Directeur scientifique

**CAMBRIDGE, MA, États-Unis, et PARIS, France – 16 avril 2018, à 07h45 CEST** – Lysogene (FR0013233475 – LYS), société biopharmaceutique pionnière spécialisée dans la thérapie génique ciblant les maladies du système nerveux central (SNC), annonce aujourd'hui sa position de trésorerie au 1<sup>er</sup> trimestre 2018 et fait le point sur son activité.

« Nous débutons l'année 2018 à un rythme soutenu afin de franchir les étapes clés du développement clinique et du parcours réglementaire pour l'ensemble de notre portefeuille de produits de thérapie génique destinés aux maladies neurologiques » explique **Karen Aiach, Fondatrice et Directeur Général de Lysogene**. « Cette année, nous prévoyons de débiter notre essai clinique pivot dans la mucopolysaccharidose de type IIIA (MPS IIIA) aux États-Unis et en Europe et de poursuivre les études IND pour notre produit destiné à la Gangliosidose à GM1 (GM1). Nous sommes également très heureux d'avoir conclu un accord de collaboration en vue de développer une thérapie génique basée sur les AAV pour le traitement du syndrome de l'X Fragile, la cause génétique la plus fréquente d'autisme, indication dont les besoins médicaux importants restent non satisfaits. »

## Situation de trésorerie et chiffre d'affaires au 31 mars 2018

Au 31 mars 2018, la trésorerie disponible s'élevait à 9,9 millions d'euros<sup>1</sup>, contre 14,1 millions au 31 décembre 2017. Comme prévu, Lysogene n'a pas généré de chiffre d'affaires au premier trimestre 2018.

## Évènements importants survenus depuis le 1<sup>er</sup> janvier 2018

- Lysogene continue de renforcer son équipe de direction en attirant des personnalités chevronnées du secteur, avec la nomination du Dr Ralph Laufer en tant que Directeur scientifique, à compter du 2 mai 2018. Le Dr Laufer possède une solide expérience dans la découverte de médicaments, le développement préclinique et le développement pharmaceutique chez Teva Pharmaceuticals et Merck Inc. Il rejoint l'équipe dirigeante de Lysogene, récemment étoffée par l'arrivée de Sophie Olivier au poste de Directrice médicale (anciennement Wyeth) et de Philippe Mendels-Flandre au poste de Directeur des opérations (anciennement Baxter/Baxalta).
- Lysogene a élargi son portefeuille de programmes en nouant un partenariat en vue de développer des thérapies géniques basées sur les AAV pour le traitement du syndrome de l'X Fragile, la plus fréquente forme héréditaire de déficience intellectuelle et de troubles du spectre autistique. Le programme sur le syndrome de l'X Fragile s'appuie sur l'expertise existante de Lysogene dans les maladies du SNC, et capitalise sur les capacités cliniques et de fabrication de l'entreprise. Lysogene communiquera prochainement plus de détails sur ce nouveau programme.

## État d'avancement et perspectives du LYS-SAF302, le candidat- médicament à un stade clinique avancé pour la MPS IIIA

Lysogene continue de progresser dans la préparation de la phase pivot de ce programme clinique, avec les derniers développements suivants :

- Obtention d'un avis favorable du Comité Pédiatrique (*Paediatric Committee*, PDCO) de l'Agence Européenne des Médicaments (EMA) concernant le Plan d'Investigation Pédiatrique (PIP) du LYS-SAF302 en janvier 2018. Cette étape réglementaire importante a confirmé le plan de l'essai clinique à un seul bras de phase 2/3 proposé chez des enfants atteints de MPS IIIA. Par conséquent, Lysogene est admissible à une extension d'exclusivité de commercialisation de 2 ans supplémentaires (en plus de l'exclusivité de commercialisation de 10 ans basée sur la désignation de médicament orphelin accordée par l'EMA pour le LYS-SAF302).
- Achèvement du recrutement dans l'étude d'Histoire Naturelle internationale et observationnelle de Lysogene (SAMOS), qui servira de groupe de contrôle dans l'étude de phase 2/3, comme convenu avec les autorités réglementaires en Europe et aux États-Unis. Tous les patients de cette étude passeront leur visite à 12 mois d'ici le second semestre 2018.
- Finalisation de toutes les études précliniques nécessaires au démarrage de l'essai clinique pivot du candidat-médicament LYS-SAF302. Ces études, qui ont permis d'obtenir des résultats positifs en

---

<sup>1</sup> Non audités et non soumis à approbation par le Conseil d'administration

matière d'efficacité et de toxicologie, serviront à l'appui de la demande de nouveau médicament expérimental (*Investigational New Drug*, IND).

- Démarrage de l'essai pivot de phase 2/3 est désormais prévu pour le second semestre 2018, soit un changement par rapport aux prévisions initiales, dû à un retard de fabrication. Malgré ce retard, toutes les prévisions pour activer huit centres d'essais cliniques aux États-Unis et en Europe pour la phase 2/3, sont en bon état d'avancement et garantiront un accès maximal des patients à cet essai clinique et au nouveau produit de thérapie génique de Lysogene.

### **LYS-GM101, le candidat-médicament pour le traitement de la GM1**

- Le programme d'études précliniques nécessaires à la demande d'IND et à l'entrée en clinique du candidat-médicament de Lysogene dans la Gangliosidose à GM1 avance comme anticipé et il est prévu de communiquer les résultats à long terme au second semestre 2018.
- La rencontre pré-IND avec la *Food and Drug Administration* (FDA) américaine est programmée pour le premier semestre 2018, de même que la demande de conseil scientifique/ assistance au protocole à l'EMA. Ces rencontres réglementaires permettront à Lysogene d'affiner le plan de développement optimal de ce nouveau traitement innovant essentiel.

### **Prochains rendez-vous financiers :**

- Assemblée des actionnaires en juin 2018
- CA et situation de trésorerie du 2<sup>e</sup> trimestre 2018 prévus le 16 juillet 2018 (après la clôture des marchés)

### **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 capable d'administrer de manière efficace et en toute sécurité des thérapies géniques dans le SNC afin de traiter les maladies lysosomales et d'autres dérèglements génétiques du SNC. Une étude pivot dans la MPS IIIA devrait être lancée en 2018 et le démarrage d'un essai clinique dans la Gangliosidose à GM1 en 2019. En parallèle de ces programmes, nous avons noué un partenariat afin de définir la stratégie de développement clinique pour le traitement du syndrome de l'X Fragile.

Lysogene est cotée sur le marché réglementé d'Euronext à Paris (code ISIN : FR0013233475). Pour plus d'informations : [www.lysogene.com](http://www.lysogene.com)



## **Contacts**

### **Investisseurs :**

Julie Coulot / Emmanuel Huynh

NewCap

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

+ 33 1 44 71 20 40

### **Déclaration prospective**

Ce communiqué de presse peut contenir des déclarations prospectives. 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 à (i) des changements sans préavis, et (ii) des facteurs que la Société ne maîtrise pas. 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 de sens contraire. Les déclarations prospectives sont sujettes à des risques intrinsèques et à des incertitudes hors de la maîtrise de la Société qui peuvent – le cas échéant – entraîner des différences notables entre les résultats, performances ou réalisations anticipés et les résultats, performances ou réalisations exprimés explicitement ou implicitement par lesdites 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 venaient à être disponibles. Ce communiqué de presse a été préparé en langues française et anglaise. Dans le cas où des différences existeraient entre les deux versions, c'est la version en langue française qui ferait foi.