

Écrit par Lysogene

Vendredi, 03 Février 2017 01:39 - Mis à jour Vendredi, 03 Février 2017 01:43

LYSOGENE

PARIS, France - 2 février 2017 - Lysogene, société biopharmaceutique (la « Société ») spécialisée dans la thérapie génique ciblant les maladies du système nerveux central (

«

SNC

»

)

,

annonce aujourd'hui que

la FDA*

a accordé la

désignation

de médicament orphelin au

LYS-GM101

,

candidat

mé

dicament

de

la

S

ociété

bientôt en développement clinique

,

pour

le traitement

de la Gangliosidose à GM1

(

«

GM1

»

).

« La désignation de médicament orphelin par la FDA pour LYS-GM101 est une importante étape réglementaire, qui va faciliter son développement clinique.

La poursuite du

Écrit par Lysogene

Vendredi, 03 Février 2017 01:39 - Mis à jour Vendredi, 03 Février 2017 01:43

développement
thérapeutique
dans cette
maladie neurodégénérative sévère
au besoin médical non satisfait
est une bonne nouvelle pour les patients

.
Nous avons hâte de
commencer
la
prochaine
phase d'essai clinique

I/II
(LYS-GM101)
d'ici la fin
du premier semestre 2018

,
conformément au calendrier annoncé précédemment

»
déclare
Karen Aiach,
Co-f
ondatrice et Directrice Générale

.

LYS-GM101 est conçu afin de corriger l'action d'un gène défectueux dans les cellules des
patients atteints de GM1, ce qui permettra
de produire une enzyme fonctionnelle et
de
prév
enir
la nature progressive des dommages neurologiques causés par GM1.

À propos de la désignation de « Médicament Orphelin »

Écrit par Lysogene

Vendredi, 03 Février 2017 01:39 - Mis à jour Vendredi, 03 Février 2017 01:43

La FDA accorde le statut de médicament orphelin dans le but d'encourager le développement de thérapies pour traiter, prévenir ou diagnostiquer des maladies ou pathologies affectant moins de 200 000 personnes aux États-Unis ; ou plus de 200 000 personnes s'il n'existe pas d'attente raisonnable

sur le fait

que le

coût

de production

du médicament

ne soit couvert par les ventes

de celui-ci

·
La désignation

de médicament orphelin

,
aux

États-Unis

,
permet au

fabriquant

de bénéficier

de mesures et d'avantages, notamment d'une période d'exclusivité de commercialisation de 7 ans à condition que soit approuvé

le candidat médicament

·
C

e statut permet

également

, dans certains cas,

au fabricant satisfaisant

à

certaines exigences,

de bénéficiaire

d

'incitations financières comme

la possibilité de postuler à des financements annuels, le programme d'aide à l'élaboration des protocoles d'étude clinique et l'exonération potentielle des frais

d'utilisation, ou

PDUFA (

Prescription Drug User

Fee

Act

)

·

À propos de GM1

La Gangliosidose à GM1 est une maladie rare neurodégénérative caractérisée par des retards cognitifs et moteurs de développement graves entraînant la mort précoce. La maladie est causée par une mutation du gène GLB1 qui code pour la bêta-galactosidase, une enzyme nécessaire au recyclage de la molécule GM1-gangliosidose dans les neurones. Ce lipide du cerveau est essentiel pour un fonctionnement normal, mais son accumulation entraîne une neurodégénérescence et des symptômes neurologiques sévères.

A la

connaissance de la Société, i

l n'existe

à ce jour

aucun traitement

permettant de stabiliser ou ralentir l'état clinique des patients atteints de GM1

.

À propos de Lysogene

Lysogene est une société de biotechnologie au stade clinique, pionnière dans la recherche fondamentale et le développement clinique de thérapies géniques utilisant des vecteurs dérivés de virus adéno-associés pour traiter des maladies rares et mortelles du SNC de

Écrit par Lysogene

Vendredi, 03 Février 2017 01:39 - Mis à jour Vendredi, 03 Février 2017 01:43

l'enfant,
pour lesquelles il
n'
existe
aujourd'hui, à la connaissance de la Société, aucun traitement
. Depuis 2009, Lysogene a mis en place une
solide
plateforme et un réseau
important
, avec des produits
innovants
dans la
MPS
III
A
et dans la gangliosidose à GM1, pour s'affirmer comme un
des
leaders
s
mondiaux
de
la thérapie génique dans les maladies rares et mortelles du système nerveux central
.

p