Le 19 octobre, 2021 - New York - Cellectis S.A. (NASDAQ : CLLS - EURONEXT GROWTH : ALCLS) (la « Société »), une société d
'
édition du génome spécialisée dans les essais en immuno-oncologie en phase clinique utilisant des cellules T allogéniques à récepteur d
'
antigène chimérique (CAR) et des essais de thérapie génique pour les maladies génétiques
, e
n collaboration avec le Professeur Toni Cathomen
,
directeur scientifique
du
Center for Chronic Immunodeficiency Medical Center
-
University of Freiburg
en
Allemagne
, présentera
à
l
'
European Society of Gene and Cell Therapy
(ESGCT),
qui se tiendra virtuellement
du 19 au 2
2
octobre 2021.

L'équipe du professeur Cathomen de l'University of Freiburg fera une présentation orale des premières données précliniques
de deux produits candidats ciblant les immunodéficiences primaires : l'immunodéficience

combinée sévère RAG1 (SCID) et le syndrome Hyper IgE.  Ces deux produits candidats f
ont
partie
de l
a
nouvelle
plateforme
de thérapie génique
.HEAL de Cellectis,
utilisant une approche d'édition du génome basée sur TALEN
®
.

« Les données présentées à l'ESGCT reflètent la même détermination qui nous anime depuis
toujours : innover pour potentiellement guérir de
s
maladies
qui n
'
ont pas pu être
traitées par
des thérapies traditionnelles
. En utilisant
la technologie TALEN
®
de Cellectis, que nous considérons comme l'outil d'édition d
u génome
le plus précis, le plus polyvalent et le plus efficace actuellement disponible, nous démontrons
notre capacité à
corriger précisément les gènes déficients RAG1 et STAT3 et à
restaurer l
eur
s
fonctionnalité
s
.
Cette
possibilité
représente un nouvel espoir pour les patients

dont les besoins médicaux ne sont pas satisfaits
", a déclaré
le docteur
Philippe Duchateau, directeur scientifique de Cellectis.

En mai dernier, lors de ses Innovation Days, Cellectis a dévoilé .HEAL, sa nouvelle plateforme de thérapie génique
à base de cellules souches hématopoïétiques
(CSH)
qui
s'attaque aux maladies génétiques
débilitantes.
.HEAL s
'
appuie sur la précision de la technologie TALEN
®
, pour permettre une inactivation, une insertion et une correction très efficaces des gènes dans les cellules souches et progénitrices hématopoïétiques (HSPCs). Ces nouveaux programmes sont conçus pour les maladies génétiques telles que la drépanocytose (SCD), les maladies lysosomales (LSD) et les immunodéficiences primaires.

Détails de la présentation

Présentation des données précliniques d'une thérapie d'édition du génome visant à corriger le gène RAG1 pour le traitement des déficits immunitaires combinés sévères

- Les nouveau-nés atteints de SCID RAG1 présentent des taux extrêmement faibles de cellules B et T et un risque important d'infections récurrentes et potentiellement mortelles. RAG1 est une enzyme essentielle exprimée spécifiquement et temporairement dans le développement précoce des cellules T et B, ce qui rend les approches traditionnelles de thérapie génique difficiles en raison de la nécessité d'un contrôle précis de l'expression spatio-temporelle .

- Récemment, les tentatives de traitement de la déficience RAG1 par thérapie génique conventionnelle ont donné des résultats insatisfaisants.

- Ces résultats soulignent la nécessité d'un contrôle spatio-temporel précis de l'expression de RAG1 comme
étant
clé de la restauration fonctionnelle et de l'utilisation d'un outil d'édition de gènes.

- En utilisant la technologie TALEN® de Cellectis et .HEAL, le Professeur Cathomen a

fabriqué des CSH contenant une copie corrigée de RAG1 rempla
çant
la copie existante et mutée de RAG1. Le remplacement précis du gène muté permet au gène RAG1 corrigé d'être
sous la dépendance du promoteur endogène et ainsi d
'
être
exprimé
au
moment et
au
stade naturels de développement cellulaire.

- 30% de la correction du gène a été réalisée au sein de la population CSH à long terme.

La présentation orale de Manuel Rhiel, Ph.D University of Freiburg et intitulée "Preclinical development of a TALEN based genome editing therapy for RAG1 deficiency"
aura lieu le 21 octobre (de 9h à 11h, heure de Paris)
. Le contenu
sera disponible
sur
le site internet de l'ESGCT
.

Présentation des données précliniques de correction du gène STAT3 dans les cellules T pour le traitement du syndrome Hyper-IgE

- Le syndrome d'hyper IgE se caractérise par des taux élevés d'IgE et s'accompagne souvent d'eczéma, d'abcès cutanés et d'infections pulmonaires récurrents, ainsi que d'un nombre élevé d'éosinophiles dans le sang. Une mutation du facteur de transcription STAT3 a été associée à la forme la plus courante de cette maladie.

- L'épissage alternatif donne naissance à deux isoformes de STAT3, STAT3? et STAT3?, qui présentent des fonctions distinctes. Le rapport ?/? doit être étroitement régulé, ce qui représente un défi majeur pour les approches traditionnelles de thérapie génique.

- Cellectis a développé une stratégie applicable dans les CSH et les cellules T pour insérer une version corrigée du gène STAT3 dans le génome du patient afin de restaurer sa fonctionnalité.

- Dans les cellules T isolées des patients, nous avons obtenu 60 % d'intégration. Plus important encore, le rapport des isoformes ?/? a été restauré.

La présentation orale de Viviane Dettmer, Ph.D University of Freiburg et intitulée "Preclinical development of a TALEN based genome editing in T cells for the treatment of Hyper-IgE-Syndrome " aura lieu le 20 octobre (de 9h à 11h, heure de Paris). Le contenu sera disponible sur le site internet de l'ESGCT.

À propos de Cellectis

Cellectis est une entreprise d'édition du génome, qui développe les premiers produits thérapeutiques d'immunothérapies allogéniques fondées sur des cellules CAR-T, inventant le concept de cellules CAR-T ingéniérées sur étagère et prêtes à l'emploi pour le traitement de patients atteints de cancer, et une plateforme permettant de réaliser des modifications génétiques thérapeutiques dans les cellules souches hématopoïétiques dans diverses maladies. En capitalisant sur ses 21 ans d'expertise en ingénierie des génomes, sur sa technologie d'édition du génome TALEN® et sur la technologie pionnière d'

électroporation PulseAgile, Cellectis développe des produits candidats innovants en utilisant la puissance du système immunitaire pour le traiter des maladies dont les besoins médicaux ne sont pas satisfaits.

Dans le cadre de son engagement dans la recherche de thérapies curatives contre le cancer, Cellectis a vocation à développer des produits candidats UCART dirigés vers les besoins médicaux non-satisfaits de patients atteints de certains types de cancer, notamment la leucémie myéloïde aiguë, la leucémie lymphoblastique aiguë à cellules B et le myélome multiple. .HEAL est une nouvelle plateforme axée sur les cellules souches hématopoïétiques pour traiter les troubles sanguins, les immunodéficiences et les maladies de surcharge lysosomales.

Le siège social de Cellectis est situé à Paris. Cellectis est également implanté à New York et à Raleigh aux États-Unis. Cellectis est coté sur le marché Euronext Growth (code : ALCLS) ainsi que sur le Nasdaq Global Market (code : CLLS).