LYSOGENE

PARIS, France et CAMBRIDGE, Mass., USA - 18 janvier 2017 - Lysogene, société biopharmaceutique spécialisée dans la thérapie génique ciblant les maladies du système nerveux central (SNC), annonce aujourd'hui que la FDA* a accordé la désignation «Maladie Rare Pédiatrique» au LYS-GM101, candidat médicament en cours de développement par la société, pour les patients atteints de la Gangliosidose à GM1 (GM1), une maladie grave neurodégénérative. Le statut de Maladie Rare Pédiatrique permet à Lysogene d'être éligible pour une Revue Prioritaire d'un prochain produit, sous réserve de l'approbation du LYS-GM101 par la FDA.

Karen Aiach, Fondatrice et Directrice Générale de Lysogene, déclare : *« LYS-GM101 est le deuxième programme de Lysogene ayant obtenu la désignation de Maladie Rare Pédiatrique après LYS-SAF302 dans le traitement de la MPS IIIA. Ceci constitue une reconnaissance importante de notre travail pour le développement de thérapies sûres et efficaces contre les maladies rares, et témoigne de notre engagement à impacter de façon significative la vie des patients atteints de celles-ci et de leurs familles. Nous avons hâte de continuer à faire progresser ces candidats médicaments, et en particulier de faire entrer LYS-GM101 en phase I/II. »*

LYS-GM101 a le potentiel pour remplacer le gène défectueux dans les cellules des patients GM1, ce qui permettra de produire une enzyme fonctionnelle et préviendra la nature progressive des dommages neurologiques causés par GM1.

À propos de la désignation « Maladie Rare Pédiatrique »

La FDA définit une «*Maladie Rare Pédiatrique*» comme une maladie touchant moins de 200 000 personnes aux États-Unis, principalement âgées de la naissance à 18 ans.
Le programme «Revue Prioritaire des Maladies Rares Pédiatriques» de la FDA, prévoit qu'un candidat ayant obtenu la désignation de «maladie rare pédiatrique» et recevant l'approbation d'un nouveau médicament ou d'une licence biologique, est éligible à une revue prioritaire pour toute nouvelle demande de mise sur le marché (AMM) concernant un autre produit.
Cette désignation peut également être vendue ou transférée un nombre illimité de fois.

À propos de la Gangliosidose à 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 essentielle pour un fonctionnement normal, mais son accumulation entraine une neurodégénerescence et entraine des symptômes neurologiques sévères. Il n'existe aucun traitement actuellement.

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 (AAV) dans des maladies du SNC pour lesquelles il existe d'importants besoins médicaux non satisfaits. Depuis 2009, Lysogene a mis en place une plateforme et un réseau sans équivalent, avec des produits de pointe dans la mucopolysaccharidose de type III (maladie de Sanfilippo de type A) et dans la gangliosidose à GM1, pour s'affirmer comme un leader mondial dans les maladies orphelines du SNC.

Pour plus d'informations : www.lysogene.com .