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 médicament de la Société 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

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 »

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
É
tats-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 bénéficier
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 entraine une neurodégénerescence et des symptômes neurologiques sévères.
A la connaissance de la Société, il 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

l'enfant, p
our 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
leader
s
mondia
ux
d
e la thérapie génique dans les maladies rares et mortelles du système nerveux central
.