LYSOGENE

Un recrutement rapide : 23 patients en moins d'un an
Un consensus scientifique sur les outils d'évaluation cognitive et comportementale (BSID-III, VABS-II) utilisés

PARIS, France et CAMBRIDGE MA USA - 30 mai 2017, 07h00 CET - Lysogene (la « Société » FR0013233475 - LYS), société biopharmaceutique
pionnière
et spécialisée
dans la thérapie génique ciblant les maladies rares du système nerveux central
(SNC)
, annonce aujourd'hui
la fin
du recrutement
de
s
patients
dans le cadre de
SAMOS
[1]
,
son
étude
observationnelle
internationale
pour la maladie
Sanfilippo
de type
A
-
également connue sous le nom de Mucopolysaccharidose Type IIIA (MPS IIIA)
.

SAMOS est particulièrement importante car il n'existe actuellement aucun biomarqueur validé p
ermettant de suivre la progression de
la
MPS IIIA
dans le SNC, ni
d'observer les effets sur le SNC
du
futur traitement
envisagé
.
SAMOS
a donc été conçue pour évaluer
la progression
clinique
des
patients
non traités
atteints de MPS IIIA.
Comme convenu avec les autorités réglementaires, cette étude internationale multicentrique
servira de «
groupe
contrôle
»
en vue de l'étude pivot
de Lysogene (
Phase II/III
)
par
thérapie génique, qui devrait débuter au premier
trimestre
2018.

« Lysogene a adopté une approche très proactive et rigoureuse pour améliorer les
connaissances sur
la
MPS IIIA
» commente Dr. Bénédicte
Heron
, n
euro

pédiatre à l'Hôpital Armand Trousseau
(AP-HP)
, Paris
, France
. «
Les efforts fournis par la Société pour mener à bien cette étude observationnelle lui permettront de développer
plus avant
ses recherches et thérapies, tout en étant utile à l
'ensemble de la
communauté scientifique
.
»

Samantha Parker, Directrice Affaires Externes de Lysogene, déclare : « Le recrutement des 23 patients dans 5 pays différents
s'est déroulé rapidement
.
L
es
responsables
de nos sites cliniques et
les
réseau
x
d'associations de patients
ont ainsi démontré leur intérêt prononcé et leur
participation active afin
de répondre aux
besoin
s
médica
ux encore
non
satisfait dans la
MPS IIIA.
»

En concevant SAMOS, Lysogene a constitué le premier panel d'experts internationaux en neurologie et neuropsychologie pour la MPS IIIA. Ces experts ont considéré que le critère principal à évaluer est la fonction cognitive. Un critère à la fois rigoureux et mesurable scientifiquement grâce à l'outil qu'est l'échelle Bayley du développement de l'enfant et du nourrisson 3e édition (BSID-III). L'échelle Vineland sur l'adaptation du comportement 2e édition (VABS-II) a été définie comme le second outil de mesure le plus approprié.

Pour aller plus loin dans la validation des critères cliniques des MPS neurologiques, une réunion de consensus entre les experts internationaux a été organisée à Londres les 2 et 3 décembre 2016 par un comité académique en partenariat avec la UK Society for Mucopolysaccharide Diseases et la US National MPS Society, présidée par Elsa Shapiro [2]. Parmi tous les instruments à disposition, le BSID-III a définitivement été recommandé pour mesurer les résultats cognitifs, tandis que le VABS-II a lui été recommandé pour mesurer l'

évolution du
comportement
adaptatif (
en s'appuyant sur la version longue de l'entretien
(
van der Lee, 2017)
)
.
[3]

Lysogene a déjà obtenu des données cliniques de l'étude SAMOS, en évaluant l'âge cognitif chez les 15 premiers patients inclus, âgés de 3 à 8 ans, selon l'échelle BSID-III, qui ont confirmé le déclin intellectuel progressif, l'hyperactivité et les troubles du comportement chez ces patients.

Lysogene a également achevé son essai clinique de phase I/II ainsi que son étude de suivi de 4 patients MPS IIIA pendant 5 ans, sans aucun effet indésirable lié au traitement ou au mode d'administration . [4]

Lysogene cible le traitement des symptômes neurologiques de la maladie MPS IIIA

MPS IIIA est une maladie mortelle du SNC nécessitant un traitement ciblé. Le produit de thérapie génique en développement par Lysogene pour la maladie MPS IIIA est un vecteur rAAV sérotype rh.10, incluant le gène codant pour SGSH. La thérapie génique *in vivo* offre la possibilité d'un traitement en une fois, en insérant une copie saine du gène SGSH dans l'organisme, permettant ainsi au corps de fabriquer l'enzyme manquante, avec comme objectif de ralentir voire de stopper la progression de la maladie. Le médicament candidat est délivré directement dans le cerveau en une seule procédure neurochirurgicale.

Pour plus d'informations sur SAMOS: www.ClinicalTrials.gov Identifiant: NCT02746341.

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, 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 IIIA et dans la gangliosidose à GM1. Chacun des produits développés par Lysogene, LYS-SAF302 et LYS-GM101, dispose des désignations de médicament orphelin par la FDA et l'EMA, et de la désignation de maladie rare pédiatrique par la FDA.

Lysogene est cotée sur le marché réglementé d'Euronext à Paris d'Euronext à Paris (code ISIN : FR0013233475).