

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)

.

Écrit par Lysogene

Mercredi, 31 Mai 2017 11:01 - Mis à jour Mercredi, 31 Mai 2017 11:04

---

SAMOS est particulièrement importante car il n'existe actuellement aucun biomarqueur validé permettant 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

Écrit par Lysogene

Mercredi, 31 Mai 2017 11:01 - Mis à jour Mercredi, 31 Mai 2017 11:04

---

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 besoins médicaux encore non satisfaits dans la MPS IIIA.  
»

Écrit par Lysogene

Mercredi, 31 Mai 2017 11:01 - Mis à jour Mercredi, 31 Mai 2017 11:04

---

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'

Écrit par Lysogene

Mercredi, 31 Mai 2017 11:01 - Mis à jour Mercredi, 31 Mai 2017 11:04

---

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

Écrit par Lysogene

Mercredi, 31 Mai 2017 11:01 - Mis à jour Mercredi, 31 Mai 2017 11:04

---

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](http://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).