LYSOGENE

PARIS, France, et CAMBRIDGE, Mass., US - 10 juillet 2017, 07h00 CEST - Lysogene (la « Société » ; FR0013233475 - LYS), société biopharmaceutique pionnière et spécialisée dans la thérapie génique ciblant les maladies rares du système nerveux central, annonce aujourd'hui que Karen Aiach, Fondatrice et Directrice Générale, présentera les avancées de Lysogene lors du Symposium MPS 2017 de l'Orphan Disease Center, qui se tient les 10 et 11 juillet 2017 à Philadelphie aux États-Unis.

Les détails de la présentation :

Évènement : Symposium MPS 2017

Date : 10 juillet 2017

Heure : 15h00 (ET)

Emplacement : The Inn at Penn, 3600 Sansom Street, Philadelphia, PA 19104.

Au sein de la thématique « CNS AAV Gene Therapy », Karen Aiach présentera la recherche menée par Lysogene pour le traitement de la MPS IIIA, un des 4 types de la maladie de Sanfilippo
, pathologie génétique rare, mortelle qui affecte le système nerveux central (SNC).
Lysogene
développe un traitement de thérapie génique pour le traitement de la MPS IIIA, qui utilise un vecteur
rAAC
sérotype
rh.10, injecté directement dans le SNC.

La présentation de Karen Aiach détaillera les données précliniques et cliniques, ainsi que l'élaboration de l'essai clinique et ses critères d'évaluation. Les présentations seront suivies d'une table ronde, animée par les présidents de séance.

À propos de l'Orphan Disease Center

L'Orphan Disease Center a été créé en 2011 grâce à la généreuse donation de George A. Weiss, un philanthrope diplômé de Wharton. Le Centre, premier dans son genre, a été créé pour faciliter la recherche translationnelle et le développement de thérapies, pour lutter contre la prévalence de certaines maladies orphelines qui touchent une population d'individus marginalisés, dans le monde entier. L'objectif du Centre est de répondre à ces besoins croissants, grâce à une coopération et des partenariats continus qui identifient et fournissent des sources de financement mais également des ressources technologiques et pédagogiques aux chercheurs académiques, sociétés de biotech comme pharmaceutiques, afin de favoriser les initiatives de développement thérapeutique et de recherche innovante.

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

Le produit candidat de thérapie génique pour la maladie MPS IIIA développé par Lysogene 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 seuleÂÂÂ 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. En fournissant le gène manquant SGSH, Lysogene estime que les patients souffrant de MPS IIIA auront accès à une source permanente d'enzyme fonctionnelle dans le cerveau, qui inversera les anormalités phénotypiques des cellules neuronales du SNC.

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 gang liosidose à GM1. Lysogene a obtenu la désignation de médicament orphelin par la FDA et l'EMA, et la désignation de maladie rare pédiatrique par la FDA, pour ses deux programmes : MPS IIIA et GM1.

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