



## **Lysogene annonce la signature d'un accord de partenariat avec le Dr. Hervé Moine, chercheur à l'IGBMC<sup>1</sup> et la SATT<sup>2</sup> Conectus Alsace, dans le cadre du syndrome de l'X Fragile**

- Développement d'un produit de thérapie génique destiné au traitement des patients atteints du syndrome de l'X Fragile
- Mise en œuvre du projet avec un format original de co-conception
- Premiers résultats du projet attendus pour 2019

**CAMBRIDGE, MA, Etats-Unis et PARIS, France – 24 avril 2018 - 8h00 CEST-** Lysogene (FR0013233475 – LYS), société biopharmaceutique pionnière et spécialisée dans la thérapie génique ciblant les maladies rares du système nerveux central, annonce aujourd'hui la signature d'un accord de partenariat avec le Dr. Hervé Moine, chercheur au sein de l'équipe du Pr. Jamel Chelly à l'IGBMC de Illkirch (CNRS, Inserm et Université de Strasbourg) et la SATT Conectus. Ce partenariat a été notablement facilité par La Fondation Maladies Rares, via son Club POC (Proof Of Concept) de la valorisation de la recherche et grâce à sa connaissance des acteurs académiques et industriels du domaine.

L'accord porte sur le développement d'un produit de thérapie génique destiné au traitement des patients atteints du syndrome de l'X Fragile. Le syndrome de l'X Fragile touche approximativement 1 naissance sur 4 à 5 000 garçons et 1 naissance sur 8 000 filles, soit environ 110 000 patients en Europe. Il est aujourd'hui la première cause héréditaire de déficience intellectuelle ainsi que la première cause connue de troubles du spectre autistique, et il n'a pas encore de traitement curatif.

Le présent partenariat vise à développer une nouvelle approche thérapeutique basée sur les travaux pionniers du Dr. Hervé Moine. La stratégie de l'équipe de Strasbourg propose de compenser par thérapie génique la réduction de DGKk, une cible thérapeutique innovante et un acteur potentiellement clé de la plasticité neuronale, dont la synthèse est sous le contrôle de FMRP, la protéine manquante responsable du syndrome de l'X Fragile.

Ce partenariat sera mis en œuvre sur un format original de co-conception. Impulsé par la SATT Conectus, ce dispositif propose d'associer très tôt une entreprise au développement d'un projet innovant porté par un chercheur et de combiner le soutien financier de Conectus avec l'expertise industrielle et de développement de la société. Si le projet aboutit positivement, l'entreprise bénéficie d'une option sur licence, lui garantissant un accès prioritaire à la technologie développée.

<sup>1</sup> IGBMC : Institut de Génétique et de Biologie Moléculaire et Cellulaire - [www.igbmc.fr](http://www.igbmc.fr)

<sup>2</sup> SATT : Société d'Accélération de Transfert de Technologie

Les premiers résultats de ce projet sont attendus pour 2019.

« Nous sommes heureux de cette association avec des partenaires prestigieux dans le domaine de l'X Fragile. Cette association qui devrait déboucher sur un accord de licence exclusive est une reconnaissance du savoir-faire de Lysogene dans le développement de thérapies pour des maladies rares du SNC » déclare **Philippe Mendels-Flandre, Directeur des Opérations de Lysogene.**

« La SATT Conectus est très motivée pour s'engager sur ce projet prometteur. Notre investissement de plus de 390 k€ dans le projet en question (projet GETEX), et la propriété intellectuelle associée, doivent permettre de valider la pertinence de l'approche de thérapie génique proposée et d'en cadrer au mieux l'adéquation aux besoins du marché. Nous sommes également heureux de nous associer au Dr. Hervé Moine et à Lysogene, partenaire-clé choisi après un processus de sélection rigoureux, notamment pour sa maîtrise de l'approche de thérapie génique du système nerveux central » commente **Nicolas Carboni, Président de la SATT Conectus.**

« Je me réjouis du rôle clé de la Fondation et de son Club POC dans la mise en lien sélective et effective de Lysogene avec le Dr Moine et la Satt Conectus » déclare **Christine Fetro, Responsable de l'accompagnement des preuves de concept thérapeutiques de la Fondation maladies rares.** « Accélérer le développement de candidats-médicaments dans les maladies rares est l'une des missions essentielles de la Fondation. »

« Grâce à l'initiative d'accompagnement de la Fondation Maladies Rares, l'expertise de Lysogene et le support de Conectus, nous allons pouvoir tester une nouvelle approche thérapeutique pour l'X Fragile, basée sur la découverte d'un mécanisme fondamental de cette maladie. Notre équipe est très fière de ce partenariat. C'est une opportunité unique de voir nos travaux académiques aider à la découverte d'un traitement, très attendu par les familles. » ajoute également le **Dr. Hervé Moine.**

**Karen Aiach, Fondatrice et Directeur Général de Lysogene,** ajoute pour sa part : « Je suis ravie de voir Lysogene développer un nouveau programme au service de patients n'ayant pas d'alternatives thérapeutiques à ce stade. »

#### **Prochains rendez-vous financiers :**

- Assemblée des actionnaires en juin 2018
- CA et situation de trésorerie du 2<sup>e</sup> trimestre 2018 prévus le 16 juillet 2018 (après la clôture des marchés)

### À propos de Lysogene

Lysogene est une société de thérapie génique spécialisée dans les maladies rares du système nerveux central (SNC). Lysogene a développé une approche unique capable d'administrer de manière efficace et en toute sécurité des thérapies géniques dans le SNC afin de traiter les maladies lysosomales et d'autres pathologies génétiques du SNC. Une étude pivot dans la MPS IIIA devrait être lancée en 2018 et le démarrage d'une étude clinique de phase 1/2 dans la Gangliosidose à GM1 en 2019. En parallèle de ces programmes, Lysogene collabore actuellement avec un partenaire à la définition de la stratégie de développement clinique pour le traitement du syndrome de l'X Fragile.

Lysogene est cotée sur le marché réglementé d'Euronext à Paris (code ISIN : FR0013233475). Pour plus d'informations : <http://www.lysogene.com/fr/>



### À propos de la SATT\* Conectus Alsace

En lien étroit avec les grands acteurs de la recherche publique, la SATT Conectus Alsace propose aux entreprises des innovations issues des laboratoires académiques d'excellence implantés en Alsace. Elle finance jusqu'à 500 k€ les inventions les plus porteuses, pour leur permettre d'aboutir à une preuve de concept, gage de succès. Grands groupes, PME et start'ups accèdent ainsi à des technologies dérisquées, avant-gardistes et prêtes à être industrialisées. Grâce à Conectus, les industriels peuvent aussi co-développer, avec des chercheurs publics, ces projets innovants à fort potentiel. Enfin, Conectus leur permet d'identifier des compétences académiques pointues pour accélérer leurs propres projets de R&D. Dans tous les cas, Conectus gère et coordonne tout échange et transaction entre l'entreprise et le chercheur, gage de simplicité et de rapidité. Depuis 2012, grâce à une excellence académique alsacienne de calibre international, la SATT Conectus a ainsi notablement accéléré le transfert de technologies au bénéfice direct d'un développement économique performant.

Depuis 2012 : 141 titres de propriété intellectuelle actifs ◦ 738 contrats de collaboration signés ◦ 79 projets innovants financés ◦ 76 transferts concrétisés ◦ 15 startups créées ◦ 27M€ levés auprès d'investisseurs (chiffres 2017)

Actionnaires : CNRS, INSERM, ENGEES, INSA, UNIVERSITE DE STRASBOURG, UNIVERSITE DE HAUTE ALSACE, CAISSE DES DEPOTS

[www.conectus.fr](http://www.conectus.fr) ◦ <http://conectlabs.conectus.fr/> ◦ @ConectusAlsace

\* Société d'Accélération du Transfert de Technologies

### À propos de la Fondation Maladies Rares

La Fondation maladies rares est une fondation de coopération scientifique, créée en 2012 dans le cadre du 2e Plan National Maladies Rares, de la volonté conjointe de 5 membres fondateurs : l'AFM-Téléthon, l'Alliance Maladies Rares, l'Inserm, la Conférence des Directeurs Généraux de Centres Hospitaliers Universitaires et la Conférence des Présidents d'Université. Elle porte une mission d'intérêt général : accélérer la recherche sur toutes les maladies rares avec trois objectifs : identifier la cause des maladies rares et aider au diagnostic, aider au développement de nouveaux traitements et rompre l'isolement des personnes malades et de leur famille.

Pour répondre à cette mission, elle soutient et finance des projets de recherche et elle conseille et accompagne sur le terrain les équipes de recherche.

Ses résultats depuis 2012 :

- 301 projets de recherche financés sur l'ensemble du territoire national
- 15 plateformes technologiques partenaires des appels à projets
- plus de 170 chercheurs accompagnés
- 88 preuves de concept thérapeutiques suivies au plus près

<http://fondation-maladiesrares.org/>

### **À propos de l'IGBMC**

Fondé en 1994 par Pierre Chambon et Dino Moras, l'Institut de Génétique et de Biologie Moléculaire et Cellulaire (IGBMC) est un des principaux centres de recherche biomédicale en Europe et la plus importante unité de recherche française qui associe l'Inserm, le CNRS et l'Université de Strasbourg. Sa stature a été reconnue par une labellisation Laboratoire d'Excellence en 2011.

Il regroupe une communauté scientifique d'environ 750 personnes de 42 nationalités différentes. L'activité recherche de l'IGBMC se compose de 4 départements scientifiques divisées en près de 50 équipes. L'institut accueille chaque année une centaine de doctorants ainsi que des masters, grâce à des programmes de formation de haut niveau tels que le PhD programme et l'Ecole Universitaire de Recherche IMCBio. En outre, l'IGBMC dispose de 4 plateformes et 9 services scientifiques de pointe pour une utilisation en interne, mais également ouverte à la communauté scientifique extérieure, et bénéficie du potentiel technologique des infrastructures du site : FRISBI, PHENOMIN, France Génomique, et INGESTEM.

L'objectif de l'institut est de développer la recherche transdisciplinaire à l'interface de la biologie, la biochimie, la médecine et la physique, mais également d'attirer les étudiants du monde entier par son offre de formation de très haut niveau dans le domaine des sciences biomédicales. Situé sur le Parc d'Innovation d'Illkirch et au sein du campus universitaire dans la banlieue Strasbourgeoise, l'IGBMC se positionne dans un environnement scientifique académique et industriel exceptionnel qui favorise largement les collaborations et le transfert technologique.

L'IGBMC est un institut pionnier pour l'étude du syndrome de l'X Fragile et a contribué au début des années 1990, simultanément avec d'autres instituts, à identifier le gène responsable de ce défaut génétique.

<http://www.igbmc.fr/>

### **À propos de l'équipe Génétique et physiopathologie de maladies neurodéveloppementales et épileptogènes de l'IGBMC**

L'équipe de recherche, dirigée par le Dr Jamel Chelly, est basée à l'Institut de Génétique et Biologie Moléculaire et Cellulaire (IGBMC, CNRS UMR 7104 - Inserm U 1258) à Illkirch et étudie les bases génétiques et les mécanismes moléculaires de plusieurs maladies neurodéveloppementales. Des travaux récents de l'équipe supervisés par Hervé Moine sur le syndrome de l'X Fragile, ont mis en évidence que la protéine FMRP joue un rôle dans la communication neuronale en permettant la fabrication de l'enzyme diacylglycerol kinase Dgkk. La restauration d'un niveau normal de Dgkk par thérapie génique offre des perspectives thérapeutiques nouvelles qui seront testées dans ce programme.

### **À propos du Syndrome de l'X Fragile**

Le syndrome de l'X Fragile est la première cause héréditaire de déficience intellectuelle et de troubles du spectre autistique. Les patients peuvent présenter également de sévères altérations du comportement, incluant hyperactivité, impulsivité, anxiété, faible acquisition du langage et crises d'épilepsie. Le syndrome est dû à des mutations en répétition de triplet dans le gène FMR1 qui empêchent la fabrication de FMRP, une protéine essentielle à la communication inter-neuronale. Il n'existe pas de traitement actuel pour cette maladie qui touche 1 homme sur 4 000 et une femme sur 8 000.

### **Contacts Presse / Investisseurs :**

Julie Coulot / Emmanuel Huynh

NewCap

[lysogene@newcap.eu](mailto:lysogene@newcap.eu)

+ 33 1 44 71 20 40

### **Déclaration prospective**

Ce communiqué de presse peut contenir des déclarations prospectives. Même si la Société considère que ses prévisions sont fondées sur des hypothèses raisonnables, toutes déclarations autres que des déclarations de faits historiques que pourrait contenir ce communiqué de presse relatives à des événements futurs sont sujettes à (i) des changements sans préavis, et (ii) des facteurs que la Société ne maîtrise pas. Ces déclarations peuvent inclure, sans que cette liste soit limitative, toutes déclarations commençant par, suivies par ou comprenant des mots ou expressions tels que « objectif », « croire », « prévoir », « viser », « avoir l'intention de », « pouvoir », « anticiper », « estimer », « planifier », « projeter », « devra », « peut avoir », « probablement », « devrait », « pourrait » et d'autres mots et expressions de même sens ou de sens contraire. Les déclarations prospectives sont sujettes à des risques intrinsèques et à des incertitudes hors de la maîtrise de la Société qui peuvent – le cas échéant – entraîner des différences notables entre les résultats, performances ou réalisations anticipés et les résultats, performances ou réalisations exprimés explicitement ou implicitement par lesdites déclarations prospectives. Sauf exigence légale, la Société ne reconnaît aucune obligation de mettre à jour publiquement ces déclarations prospectives, ni d'actualiser les raisons pour lesquelles les résultats avérés pourraient varier sensiblement des résultats anticipés par les déclarations prospectives, et ce y compris dans le cas où des informations nouvelles venaient à être disponibles. Ce communiqué de presse a été préparé en langues française et anglaise. Dans le cas où des différences existeraient entre les deux versions, c'est la version en langue française qui ferait foi.