



LYSOGENE lance les premiers essais cliniques de thérapie génique dans la maladie de SANFILIPPO.

LYSOGENE vient de recevoir l'autorisation de l'AFSSAPS pour lancer le premier essai de thérapie génique intracérébrale dans une maladie neuro-dégénérative de l'enfant, la maladie de SANFILIPPO.

Deux ans après le démarrage de la phase de préparation, LYSOGENE franchit un cap historique et lance le développement clinique de son premier produit, SAF-301, un médicament expérimental destiné à traiter la Mucopolysaccharidose de type III A également connue sous le nom de Syndrome de SANFILIPPO de type A.

Ce programme vise à développer le premier produit pédiatrique européen de thérapie génique par administration intracérébrale. Fait marquant, et malgré les contraintes extrêmes associées, il a permis le passage du laboratoire du chercheur au lit du patient en seulement 4 ans, grâce à l'implication des meilleurs spécialistes mondiaux dans leur domaine d'expertise et aux capacités d'innovation inhérentes à la structure de la société LYSOGENE.

Le programme SAF-301 a pour objectif de rétablir le fonctionnement d'un gène

déficient, responsable de la maladie de SANFILIPPO, et donc d'endiguer l'évolution de celle-ci.

Les 4 patients qui seront inclus successivement dans l'essai, seront suivis à l'hôpital Bicêtre par le Professeur Tardieu, investigateur principal de l'essai. Pendant une période d'un an, plusieurs examens, répartis sur les 19 visites programmées dans le protocole, permettront d'évaluer la tolérance clinique, radiologique et biologique de ce traitement et de collecter des informations précieuses pour l'évaluation ultérieure de son efficacité.

C'est au cours d'une opération neurochirurgicale unique, réalisée par le Professeur Zerah à l'hôpital Necker Enfants Malades, que l'administration de la version fonctionnelle du gène déficient sera réalisée.

Karen Aiach, fondatrice de Lysogène et maman d'une petite fille atteinte du syndrome de Sanfilippo a réussi grâce à une structure courte, agile et innovante, à faire ce que les géants pharmaceutiques considèrent comme irréalisable : passer de la phase de

recherche à la phase clinique sur une maladie orpheline en moins de 4 ans.

« Faire entrer en clinique un programme de thérapie génique avancé est pour nous une grande victoire. Les avis favorables au démarrage de l'essai, issus des autorités compétentes, l'AFSSAPS et le Comité de Protection des Personnes, constituent un pas historique vers la mise au point d'un traitement par transfert de gène intracérébral, prélude à l'élargissement potentiel de nos sphères thérapeutiques à d'autres maladies génétiques orphelines »

L'essai démarre dès la fin de l'été 2011.

Fondée par Karen Aiach en 2009, LYSOGENE est une entreprise biopharmaceutique pionnière en matière de thérapies géniques ciblant les pathologies sévères d'origine génétique du système nerveux central. Olivier Danos, Directeur de Recherche au CNRS (Paris, France) et Professeur Associé à l'Institut du cancer UCL (Londres Royaume-Uni) en est le directeur de recherche.

LYSOGENE s'attache à trouver des thérapies avancées aux maladies génétiques réputées incurables pour réellement faire la différence et améliorer la vie des patients. Grâce à une relation étroite avec les familles et une

intégration active des communautés de patients, la société a su obtenir le soutien d'associations aussi emblématiques que l'AFM-Téléthon, et l'implication de parents de patients dans un programme où l'expertise de la maladie au quotidien compte plus que tout.

Le programme SAF-301 est le premier programme développé par la société qui lancera, à horizon 2013, d'autres programmes de thérapie génique sur les maladies du système nerveux central.

Le syndrome de SANFILIPPO de type A (ou MPSIIIA) est une maladie lysosomale rare et mortelle liée à un déficit enzymatique de la protéine N-sulfohydrolase sulfoglycosamine (SGSH). Le principal symptôme clinique est une dégénérescence neurologique qui condamne les enfants qui en sont atteints à une espérance de vie comprise entre 10 et 20 ans.

En savoir plus :

Lysogene
Tel : +33 (0)1 56 88 52 86
Fax : +33 (0)1 56 88 52 81

contact@lysogene.com
www.lysogene.com

Lorsque vous trouvez enfin le bon partenaire

Il existe maintenant une application en ligne qui vous permet de déterminer rapidement la colonne en phase inverse idéale pour votre méthode. Trouvez votre colonne idéale sur la base des caractéristiques de vos composés, de la classification de la Pharmacopée, d'applications ou d'alternatives recommandées.

ColumnMatch.com™