

COMMUNIQUÉ DE PRESSE

Collectis présente des données sur deux programmes précliniques de thérapies géniques basées sur TALEN® pour les patients atteints de drépanocytose et de mucopolysaccharidose de type I à l'ESGCT 2022

Le 11 octobre 2022 - New York (N.Y.) - Collectis (Euronext Growth: ALCLS - Nasdaq: CLLS), société de biotechnologie de stade clinique, qui utilise sa technologie pionnière d'édition de génome TALEN® pour développer des thérapies innovantes pour le traitement de maladies graves, a annoncé aujourd'hui que la Société fera une présentation orale et présentera un poster lors du 29ème congrès de l'*European Society of Gene and Cell Therapy* (ESGCT), qui se tiendra à Édimbourg du 11 au 14 octobre 2022.

Arianna Moiani, Ph.D., Senior Scientist & Team Leader Innovation Gene Therapy, présentera des données précliniques encourageantes, s'appuyant sur la technologie d'édition du génome TALEN®, pour développer une thérapie génique basé sur les cellules souches et progénitrices hématopoïétiques (HSPC) conduisant à une correction efficace du gène *HBB* dans la drépanocytose.

Eduardo Seclen, Ph.D., Senior Scientist & Team Leader, Gene Editing, présentera un poster illustrant une approche d'édition de génome basée sur TALEN® qui reprogramme les HSPC pour qu'elles sécrètent de l'alpha-L-iduronidase (IDUA), une enzyme thérapeutique manquante dans la Mucopolysaccharidose de type I (MPS-I).

"Les données précliniques présentées à l'ESGCT démontrent une fois de plus notre capacité à exploiter notre technologie d'édition du génome TALEN® pour traiter les maladies génétiques, notamment la drépanocytose et les maladies lysosomales. En corrigeant une mutation défectueuse ou en insérant un gène corrigé au niveau des HSPC, nous visons à fournir un approvisionnement à vie en cellules saines en une seule intervention", a déclaré Philippe Duchateau, Ph.D., directeur scientifique de Collectis. "Cette possibilité représente un nouvel espoir pour les patients dont les besoins médicaux ne sont pas satisfaits".

Détails de la présentation

Présentation de données précliniques sur une méthode d'administration d'ADN non viral associée à l'outil d'édition du génome TALEN® qui permet de corriger très efficacement la mutation drépanocytaire dans des cellules souches hématopoïétiques

La drépanocytose est due à une mutation ponctuelle du gène *HBB* qui entraîne la formation de globule rouges falciformes empêchant le transport efficace de l'oxygène aux organes.

Collectis s'est appuyée sur sa technologie TALEN® pour développer un processus d'édition du génome conduisant à une correction très efficace du gène *HBB*, tout en atténuant les risques potentiels associés à l'élimination de ce gène.

Ces résultats montrent que l'administration d'ADN non viral associée à l'édition du génome par les TALEN® réduit la toxicité habituellement observée avec l'administration d'ADN par vecteur viral et permet des niveaux élevés de correction du gène *HBB* dans les cellules souches hématopoïétiques.

La présentation orale d'Arianna Moiani, Ph.D., Senior Scientist & Team Leader Innovation Gene Therapy et intitulée **"Non-viral DNA delivery associated to TALEN® gene editing leads to highly efficient correction of sickle cell mutation in long-term repopulating hematopoietic stem cells"**, aura lieu le 13 octobre à 8h30 (heure de Londres). La présentation sera disponible sur [le site Internet de Collectis](#) le jour de la présentation.

Détails de la présentation

Présentation de données précliniques sur l'ingénierie de cellules HSPC éditées par TALEN® qui permettent l'apport systémique d'IDUA.

La mucopolysaccharidose de type I (MPS-I) est causée par des déficiences dans le gène de l'alpha-L-iduronidase (IDUA) et est associée à une grave morbidité, ce qui représente un important besoin médical non satisfait.

Collectis a mis en place un protocole d'édition du génome *ex vivo* basé sur TALEN® pour insérer une cassette d'expression d'IDUA dans un locus spécifique de HSPC. Les cellules ainsi corrigées sont capables de se greffer dans la moelle osseuse et de se différencier en lignées sanguines et d'atteindre plusieurs tissus, y compris le cerveau pour y sécréter la protéine d'intérêt.

Ces résultats ouvrent la voie à un traitement ciblé par thérapie génique de la maladie MPS-I. La présentation poster d'Eduardo Seclen, Ph.D., Senior Scientist & Team Leader, Gene Editing et intitulée **"TALEN®-mediated engineering of HSPC enables systemic delivery of IDUA"**, aura lieu le 13 octobre entre 17h30-19h15 (heure de Londres). La présentation est disponible sur [le site Internet de Collectis](#).

À propos de Collectis

Collectis est une société de biotechnologie de stade clinique, qui utilise sa technologie pionnière d'édition de génome TALEN® pour développer des thérapies innovantes pour le traitement de maladies graves. Collectis développe les premiers produits thérapeutiques d'immunothérapies allogéniques fondées sur des cellules CAR-T, inventant le concept de cellules CAR-T ingénierées sur étagère et prêtes à l'emploi pour le traitement de patients atteints de cancer, et une plateforme permettant de réaliser des modifications génétiques thérapeutiques dans les cellules souches hématopoïétiques dans diverses maladies. En capitalisant sur ses 23 ans d'expertise en ingénierie des génomes, sur sa technologie d'édition du génome TALEN® et sur la technologie pionnière d'électroporation PulseAgile, Collectis développe des produits candidats innovants en utilisant la puissance du système immunitaire pour le traiter des maladies dont les besoins médicaux ne sont pas satisfaits. Dans le cadre de son engagement dans la recherche de thérapies curatives contre le cancer, Collectis a vocation à développer des produits candidats UCART dirigés vers les besoins médicaux non-satisfaits de patients atteints de certains types de cancer, notamment la leucémie myéloïde aiguë, la leucémie lymphoblastique aiguë à cellules B et le myélome multiple. .HEAL est une nouvelle plateforme axée sur les cellules souches hématopoïétiques pour traiter les troubles sanguins, les immunodéficiences et les maladies de surcharge lysosomales.

Le siège social de Collectis est situé à Paris.
Collectis est également implanté à New York et à Raleigh aux États-Unis.

Collectis est coté sur le marché Euronext Growth (code : ALCLS)
ainsi que sur le Nasdaq Global Market (code : CLLS).

Pour en savoir plus, visitez notre site internet : www.collectis.com
Suivez Collectis sur les réseaux sociaux : @collectis, LinkedIn et YouTube.

TALEN® est une marque déposée, propriété de Collectis.

Pour plus d'informations, veuillez contacter :

Contacts média :

Pascalynne Wilson, Director, communications, 07 76 99 14 33,
media@collectis.com

Contact relations investisseurs :

Arthur Stril, Chief Business Officer, +1 (347) 809 5980, investors@collectis.com
Sandy von der Weid, Associate Director, LifeSci Advisors, +41786800538

Avertissement

Ce communiqué de presse contient des déclarations prospectives sur les objectifs de la Société, qui reposent sur nos estimations et hypothèses actuelles et sur les informations qui nous sont actuellement disponibles. Ces déclarations prospectives incluent des déclarations sur le potentiel de nos programmes précliniques et produits candidats. Les déclarations prospectives sont soumises à des risques connus et inconnus, des incertitudes, incluant les risques nombreux associés au développement de produits candidats biopharmaceutiques. De plus amples informations sur les facteurs de risques qui peuvent affecter l'activité de la société et ses performances financières sont indiquées dans le rapport annuel de Collectis en anglais intitulé « Form 20-F » pour l'exercice clos le 31 décembre 2021, dans le rapport financier (incluant le rapport de gestion du conseil d'administration) pour l'exercice clos le 31 décembre 2021 et les documents enregistrés postérieurement par Collectis auprès de la Securities Exchange Commission. Sauf si cela est requis par la réglementation applicable, nous déclinons toute obligation d'actualiser et de publier ces énoncés prospectifs, ou de mettre à jour les raisons pour lesquelles les résultats pourraient différer matériellement de ceux prévus dans les énoncés prospectifs, même si de nouvelles informations étaient disponibles dans le futur.