

COMMUNIQUÉ DE PRESSE

**Collectis présente à l'ESGCT les premières données précliniques de deux nouvelles thérapies géniques pour les patients atteints d'immunodéficience combinée sévère RAG1 (SCID) et du syndrome Hyper IgE**

**Le 19 octobre, 2021 – New York** - Collectis S.A. (NASDAQ : CLLS – EURONEXT GROWTH : ALCLS) (la « Société »), une société d'édition du génome spécialisée dans les essais en immuno-oncologie en phase clinique utilisant des cellules T allogéniques à récepteur d'antigène chimérique (CAR) et des essais de thérapie génique pour les maladies génétiques, en collaboration avec le Professeur Toni Cathomen, directeur scientifique du Center for Chronic Immunodeficiency Medical Center - University of Freiburg en Allemagne, présentera à l'*European Society of Gene and Cell Therapy* (ESGCT), qui se tiendra virtuellement du 19 au 22 octobre 2021.

L'équipe du professeur Cathomen de l'University of Freiburg fera une présentation orale des premières données précliniques de deux produits candidats ciblant les immunodéficiences primaires : l'immunodéficience combinée sévère RAG1 (SCID) et le syndrome Hyper IgE. Ces deux produits candidats font partie de la nouvelle plateforme de thérapie génique .HEAL de Collectis, utilisant une approche d'édition du génome basée sur TALEN®.

« Les données présentées à l'ESGCT reflètent la même détermination qui nous anime depuis toujours : innover pour potentiellement guérir des maladies qui n'ont pas pu être traitées par des thérapies traditionnelles. En utilisant la technologie TALEN® de Collectis, que nous considérons comme l'outil d'édition du génome le plus précis, le plus polyvalent et le plus efficace actuellement disponible, nous démontrons notre capacité à corriger précisément les gènes déficients RAG1 et STAT3 et à restaurer leurs fonctionnalités. Cette possibilité représente un nouvel espoir pour les patients dont les besoins médicaux ne sont pas satisfaits", a déclaré le docteur Philippe Duchateau, directeur scientifique de Collectis.

En mai dernier, lors de ses *Innovation Days*, Collectis a dévoilé .HEAL, sa nouvelle plateforme de thérapie génique à base de cellules souches hématopoïétiques (CSH) qui s'attaque aux maladies génétiques débilitantes. .HEAL s'appuie sur la précision de la technologie TALEN®, pour permettre une inactivation, une insertion et une correction très efficaces des gènes dans les cellules souches et progénitrices hématopoïétiques (HSPCs). Ces nouveaux programmes sont conçus pour les maladies génétiques telles que la drépanocytose (SCD), les maladies lysosomales (LSD) et les immunodéficiences primaires.

## **Détails de la présentation**

### **Présentation des données précliniques d'une thérapie d'édition du génome visant à corriger le gène RAG1 pour le traitement des déficits immunitaires combinés sévères**

- Les nouveau-nés atteints de SCID RAG1 présentent des taux extrêmement faibles de cellules B et T et un risque important d'infections récurrentes et potentiellement mortelles. RAG1 est une enzyme essentielle exprimée spécifiquement et temporairement dans le développement précoce des cellules T et B, ce qui rend les approches traditionnelles de thérapie génique difficiles en raison de la nécessité d'un contrôle précis de l'expression spatio-temporelle.
- Récemment, les tentatives de traitement de la déficience RAG1 par thérapie génique conventionnelle ont donné des résultats insatisfaisants.
- Ces résultats soulignent la nécessité d'un contrôle spatio-temporel précis de l'expression de RAG1 comme étant clé de la restauration fonctionnelle et de l'utilisation d'un outil d'édition de gènes.
- En utilisant la technologie TALEN® de Collectis et .HEAL, le Professeur Cathomen a fabriqué des CSH contenant une copie corrigée de RAG1 remplaçant la copie existante et mutée de RAG1. Le remplacement précis du gène muté permet au gène RAG1 corrigé d'être sous la dépendance du promoteur endogène et ainsi d'être exprimé au moment et au stade naturels de développement cellulaire.
- 30% de la correction du gène a été réalisée au sein de la population CSH à long terme.

La présentation orale de Manuel Rhiel, Ph.D University of Freiburg et intitulée "*Preclinical development of a TALEN based genome editing therapy for RAG1 deficiency*" aura lieu le 21 octobre (de 9h à 11h, heure de Paris). Le contenu sera disponible sur [le site internet de l'ESGCT](#).

### **Présentation des données précliniques de correction du gène STAT3 dans les cellules T pour le traitement du syndrome Hyper-IgE**

- Le syndrome d'hyper IgE se caractérise par des taux élevés d'IgE et s'accompagne souvent d'eczéma, d'abcès cutanés et d'infections pulmonaires récurrents, ainsi que d'un nombre élevé d'éosinophiles dans le sang. Une mutation du facteur de transcription STAT3 a été associée à la forme la plus courante de cette maladie.
- L'épissage alternatif donne naissance à deux isoformes de STAT3, STAT3 $\alpha$  et STAT3 $\beta$ , qui présentent des fonctions distinctes. Le rapport  $\alpha/\beta$  doit être étroitement régulé, ce qui représente un défi majeur pour les approches traditionnelles de thérapie génique.
- Collectis a développé une stratégie applicable dans les CSH et les cellules T pour insérer une version corrigée du gène STAT3 dans le génome du patient afin de restaurer sa fonctionnalité.
- Dans les cellules T isolées des patients, nous avons obtenu 60 % d'intégration. Plus important encore, le rapport des isoformes  $\alpha/\beta$  a été restauré.

La présentation orale de Viviane Dettmer, Ph.D University of Freiburg et intitulée "*Preclinical development of a TALEN based genome editing in T cells for the treatment of Hyper-IgE-Syndrome*" aura lieu le 20 octobre (de 9h à 11h, heure de Paris). Le contenu sera disponible sur [le site internet de l'ESGCT](#).

### **À propos de Collectis**

Collectis est une entreprise d'édition du génome, qui 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 21 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](http://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 media :**

Pascalyné Wilson, Director, communications, 07 76 99 14 33, [media@collectis.com](mailto:media@collectis.com)

#### **Contact relations investisseurs :**

Eric Dutang, Chief Financial Officer, +1 (646) 630 1748, [investor@collectis.com](mailto:investor@collectis.com)

#### **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. Les déclarations prospectives sont soumises à des risques connus et inconnus, des incertitudes, incluant la durée et la sévérité de la pandémie de COVID-19 et les mesures gouvernementales et réglementaires mises en place pour répondre à cette situation qui évolue, ainsi qu'à d'autres facteurs qui pourraient entraîner des différences matérielles entre nos résultats, performances et accomplissements actuels et les résultats, performances et accomplissements futurs exprimés ou suggérés par les déclarations prospectives. 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 2020, dans le rapport financier (incluant le rapport de gestion du conseil d'administration) pour l'exercice clos le 31 décembre 2020 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.