

COMMUNIQUÉ DE PRESSE

Collectis publie une nouvelle approche d'édition intronique pour le traitement des maladies métaboliques congénitales par des cellules souches hématopoïétiques modifiées

New York, NY – le 10 avril 2024 – Collectis (Euronext Growth: ALCLS - Nasdaq: CLLS), société de biotechnologie de stade clinique, qui utilise sa technologie pionnière d'édition de génome TALEN® pour développer de potentielles thérapies innovantes pour le traitement de maladies graves, a annoncé aujourd'hui la publication d'un article scientifique dans *Molecular Therapy*, démontrant que l'édition d'introns par TALEN® sur des cellules souches et progénitrices hématopoïétiques (CSPHs) permet de limiter l'expression de transgènes thérapeutiques à la lignée myéloïde. Cette approche pourrait ouvrir de nouvelles voies thérapeutiques pour le traitement des maladies métaboliques congénitales et des maladies neurologiques qui nécessitent l'administration de produits thérapeutiques dans le cerveau.

À propos des cellules souches et progénitrices hématopoïétiques (CSPHs)

L'édition du génome dans les cellules souches et progénitrices hématopoïétiques (CSPHs) a permis de traiter de nombreuses maladies génétiques auparavant incurables. Les CSPHs thérapeutiques éditées peuvent se greffer dans la moelle osseuse du patient, s'auto-répliquer, se différencier et peupler d'autres organes, propageant les effets thérapeutiques de manière systémique et indéfinie après une seule intervention.

Dans cet article scientifique, Collectis démontre que l'insertion du transgène thérapeutique IDUA (codant pour l'enzyme manquante chez les individus atteints de mucopolysaccharidose de type 1) dans le premier intron du gène *CD11b*, permet de limiter l'expression de la protéine thérapeutique IDUA à la lignée myéloïde. Les cellules myéloïdes ainsi modifiées, agissent alors comme un cheval de Troie pour vectoriser l'IDUA à travers la barrière hémato-encéphalique, ce qui permet sa délivrance au cerveau de souris modèles immunodéficientes. Cette stratégie d'insertion de gènes présente une empreinte génomique minimale et prévient l'expression de l'IDUA par les cellules souches ou d'autres cellules différenciées non myéloïdes. Elle pourrait potentiellement permettre le développement de thérapies efficaces pour les troubles métaboliques et neurologiques.

"Cette nouvelle approche d'insertion de transgène thérapeutique permet d'utiliser la capacité naturelle des cellules myéloïdes à franchir la barrière hémato-encéphalique pour vectoriser efficacement une protéine thérapeutique dans le cerveau. En outre, en insérant le transgène thérapeutique dans une région intronique du gène *CD11b*, cette approche préserve l'intégrité de *CD11b* et prévient ainsi les effets indésirables observés avec les méthodes d'insertion géniques conventionnelles. Cette approche est, par essence, polyvalente et pourrait être

utilisée pour vectoriser un ensemble de protéines thérapeutiques dans le cerveau et potentiellement traiter de multiples troubles neurologiques " déclare Julien Valton, Ph.D., Vice Président Gene Therapy à Cellectis.

Les données de la recherche démontrent que :

- L'insertion du transgène thérapeutique IDUA dans le premier intron du gène myéloïde *CD11b*, permet de restreindre l'expression d'IDUA (l'enzyme manquante chez les patients atteints de mucopolysaccharidose de type I) aux cellules myéloïdes.
- Cette approche d'insertion génique spécifique des introns présente une empreinte génomique minimale et n'affecte pas l'expression des gènes endogènes qu'elle cible.
- Les CSPHs modifiées ont la capacité de se greffer efficacement dans la moelle osseuse de souris modèles immunodéficientes, de se différencier en divers tissus hématopoïétiques et d'atteindre le cerveau sous forme de cellules myéloïdes.

L'article scientifique est disponible sur le site de *Molecular Therapy* en cliquant sur ce lien : <https://doi.org/10.1016/j.ymthe.2024.04.001>

À propos de Cellectis

Cellectis est une société de biotechnologie au stade clinique, qui utilise sa technologie pionnière d'édition de génome TALEN® pour développer des thérapies innovantes pour le traitement de maladies graves. Cellectis 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 24 ans d'expertise en ingénierie des génomes, sur sa technologie d'édition du génome TALEN® et sur la technologie pionnière d'électroporation PulseAgile, Cellectis développe des produits candidats innovants en utilisant la puissance du système immunitaire pour traiter des maladies dont les besoins médicaux ne sont pas satisfaits. Le siège social de Cellectis est situé à Paris. Cellectis est également implantée à New York et à Raleigh aux États-Unis.

Cellectis est cotée 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.cellectis.com

Suivez Cellectis sur les réseaux sociaux : @cellectis, LinkedIn et YouTube.

TALEN® est une marque déposée, propriété de Cellectis.

Avertissement :

Ce communiqué de presse contient des déclarations "prospectives" au sens des lois sur les valeurs mobilières applicables, notamment le Private Securities Litigation Reform Act de 1995. Les déclarations prospectives peuvent être identifiées par des mots tels que "pourrait," "peuvent" et "potentiellement", ou la forme négative de ces expressions et d'autres expressions similaires. Ces déclarations prospectives sont fondées sur les attentes et les hypothèses actuelles de notre direction et sur les informations dont elle dispose actuellement. Les déclarations prospectives comprennent des déclarations sur le potentiel de programmes de recherche et développement. Ces déclarations prospectives sont faites à la lumière des informations dont nous disposons actuellement et sont soumises à de nombreux risques et incertitudes, notamment en ce qui concerne les nombreux risques associés au développement de produits candidats biopharmaceutiques. En outre, de nombreux autres facteurs importants, y compris ceux décrits dans notre rapport annuel sur le formulaire 20-F et le rapport financier (y compris le rapport de gestion) pour l'exercice clos le 31 décembre 2022 et les documents ultérieurs déposés par Collectis auprès de la Securities Exchange Commission de temps à autre, qui sont disponibles sur le site Web de la SEC à l'adresse www.sec.gov, ainsi que d'autres risques et incertitudes connus et inconnus, peuvent avoir un effet négatif sur ces déclarations prospectives et faire en sorte que nos résultats, performances ou réalisations réels soient sensiblement différents de ceux exprimés ou sous-entendus par les déclarations prospectives. Sauf si la loi l'exige, nous n'assumons aucune obligation de mettre à jour publiquement ces déclarations prévisionnelles, ou de mettre à jour les raisons pour lesquelles les résultats réels pourraient différer sensiblement de ceux prévus dans les déclarations prévisionnelles, même si de nouvelles informations deviennent disponibles à l'avenir.

Pour de plus amples informations sur Collectis, veuillez contacter :**Contacts média :**

Pascalynne Wilson, Director, Communications +33 (0)7 76 99 14 33,

media@collectis.com

Patricia Sosa Navarro, Chief of Staff to the CEO, +33 (0)7 76 77 46 93, media@collectis.com

Contacts pour les relations avec les investisseurs :

Arthur Stril, Chief Business Officer, +1 (347) 809 5980, investors@collectis.com

Sandya von der Weid, Associate Director, LifeSci Advisors, +41 786 80 05 38