

COMMUNIQUÉ DE PRESSE

**American Society of Hematology (ASH) :**  
**Cellectis dévoile des résultats préliminaires de son essai clinique de Phase I BALLI-01 évaluant UCART22 chez l'adulte atteint de LLA à cellules B en rechute ou réfractaire**

- Le produit candidat UCART22 de Cellectis a été administré en toute sécurité dans l'étude de Phase I BALLI-01 sans manifestation de toxicité limitant la dose, ni de maladie du greffon contre l'hôte
- 2 patients sur 3 au palier de dose 1 ont atteint une rémission complète avec une récupération hématologique incomplète, et 1 patient sur 2 au palier de dose 2 a atteint une réduction significative des blastes dans la moelle osseuse
- Inclusion de patients en cours dans l'essai clinique BALLI-01 au palier de dose 2 incorporant l'alemtuzumab au régime de lymphodéplétion composé de fludarabine et cyclophosphamide ; prochaine publication des données clinique prévue en 2021

**Le 5 décembre 2020 - New York (N.Y.) - [Cellectis](#)** (Euronext Growth : ALCLS - Nasdaq : CLLS), une société biopharmaceutique spécialisée dans le développement d'immunothérapies fondées sur des cellules CAR-T allogéniques ingénierées (UCART), dévoile des résultats préliminaires issus de son essai clinique de Phase I à escalade de dose BALLI-01, évaluant le produit candidat UCART22 chez les patients atteints de leucémie lymphoblastique aiguë (LLA) à cellules B en rechute ou réfractaire. Ces résultats ont été présentés lors de la conférence annuelle de l'American Society of Hematology (ASH). Il s'agit de la première publication de données cliniques issues de l'essai clinique BALLI-01 de Cellectis.

La présentation de l'essai clinique BALLI-01 diffusée lors de la réunion annuelle de l'ASH est disponible sur le site internet de Cellectis : <https://bit.ly/CellectisASH2020>

« Ces données cliniques préliminaires et prometteuses, obtenues à partir des deux premiers paliers de plus faible dose de cellules UCART22, évaluées dans l'essai BALLI-01, après un schéma standard de lymphodéplétion composé de fludarabine et de cyclophosphamide, sont encourageantes. L'activité anti-leucémique observée chez ces patients atteints de LLA à cellules B, qui avaient été lourdement prétraités avant d'être inclus dans l'essai, témoigne de la validité de la cible CD22, et atteste du potentiel des thérapies cellulaires allogéniques pour supplanter les produits CAR-T autologues. Nous avons commencé à recruter des cohortes de patients qui recevront l'alemtuzumab, un anticorps monoclonal anti-CD52, dans le schéma de lymphodéplétion, car nous pensons que cela conduira à une plus longue fenêtre de persistance de nos cellules CAR-T allogéniques ingénierées grâce à la technologie TALEN® », a déclaré Carrie Brownstein, MD, Directrice médicale de Cellectis. « Au vu des avancées

significatives de nos produits candidats développés en partenariat ou en propre, qui ont été présentées à l'ASH, nous sommes impatients de pouvoir dévoiler davantage de données cliniques en 2021. »

### **Caractéristiques**

En date du 2 novembre 2020, sept patients avaient été recrutés et cinq patients ont reçu des cellules UCART22. Un patient n'a pas satisfait aux critères d'inclusion et un autre a été exclu de l'étude avant l'administration des cellules UCART22 en raison d'un événement indésirable lié à la lymphodéplétion.

### **Sécurité**

Aucun patient n'a subi de toxicité limitant la dose, de syndrome de neurotoxicité, de maladie du greffon contre l'hôte, d'effets indésirables d'intérêt particulier (AESI), d'effets secondaires ou d'effets secondaires sévères de grade  $\geq 3$  du fait du produit candidat UCART22. Aucun patient n'a interrompu son traitement en raison d'un effet indésirable lié à UCART22 apparu en cours de traitement.

### **Activité anti-leucémique**

Deux patients au palier de dose 1 ont atteint une réponse objective de rémission complète avec une récupération hématologique incomplète au jour 28. L'un d'entre eux a atteint une rémission complète au jour 42 et a reçu une greffe après un traitement ultérieur à l'inotuzimab. Un patient atteint d'une maladie réfractaire au palier de dose 2 a obtenu une réduction notable des blastes dans la moelle osseuse après traitement avec des cellules UCART22 (de 60% au moment du dépistage à 13% au jour 28), puis a rechuté. Un rétablissement des lymphocytes de l'hôte a été observé chez tous les patients pendant la période d'observation d'éventuelles toxicités limitant la dose (entre le 9<sup>e</sup> et le 28<sup>e</sup> jour). Une analyse corrélative de l'expansion et de la persistance des cellules UCART est en cours.

UCART22 a montré des signes préliminaires d'activité à des niveaux de dose faibles avec le régime de lymphodéplétion composé de fludarabine et de cyclophosphamide, sans aucun effet toxique inattendu ou significatif lié au traitement. Un rétablissement des lymphocytes de l'hôte a été observé à un stade précoce du traitement, étayant le choix d'ajouter l'alemtuzumab au régime de lymphodéplétion composé de fludarabine et de cyclophosphamide. Ceci devrait entraîner une déplétion plus profonde et plus soutenue des lymphocytes T, et ainsi favoriser l'expansion et la persistance des cellules UCART22. L'inclusion de patients dans les cohortes au palier de dose 2 avec alemtuzumab est en cours.

<b>Effets indésirables au cours du traitement aux paliers de dose 1 et 2</b>					
	Grade 1	Grade 2	Grade 3	Grade 4	Grade 5
<b>Maladie du greffon contre l'hôte</b>	0	0	0	0	0
<b>Syndrome de relargage de cytokines</b>	2	1	0	0	0
<b>Syndrome de neurotoxicité associée aux cellules immunitaires effectrices</b>	0	0	0	0	0
<b>Effets indésirables graves<sup>1</sup></b>			3	1	1

<sup>1</sup> Effets indésirables graves qui ne sont pas liés au produit candidat UCART22

## À propos d'UCART22

UCART22 est l'un des produits candidats allogéniques développés en propre par Collectis, fondé sur des cellules T ingénierées, conçu pour le traitement de la leucémie lymphoblastique aiguë à cellules B en rechute ou réfractaire. À l'instar de CD19, CD22 est un antigène à la surface de la cellule qui s'exprime dès le stade de pré-développement des cellules B et jusqu'à leur maturation. L'expression de CD22 est observée dans plus de 90 % des cas de LLA à cellules B.

## À propos de Collectis

Collectis développe les toutes premières 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. En capitalisant sur ses 20 ans d'expertise en ingénierie des génomes, sur sa technologie d'édition du génome TALEN<sup>®</sup> et sur la technologie pionnière d'électroporation PulseAgile, Collectis développe des produits candidats innovants en utilisant la puissance du système immunitaire pour cibler et éliminer les cellules cancéreuses.

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.

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<sup>®</sup> est une marque déposée, propriété de Collectis.

**Pour plus d'informations, veuillez contacter :**

### Contact media :

Jennifer Moore, SVP, Public Relations, + 1917-580-1088, [media@collectis.com](mailto:media@collectis.com)

Caroline Carmagnol et Najette Chaib, ALIZE RP, 06 64 18 99 59, [collectis@alizerp.com](mailto:collectis@alizerp.com)

**Contact relations investisseurs :**

Simon Harnest, SVP, Corporate Strategy and Finance, + 1646-385-9008,  
[simon.harnest@collectis.com](mailto:simon.harnest@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, incluant des déclarations sur le calendrier de réalisation et les progrès des essais cliniques (incluant ceux relatifs au recrutement des patients et au suivi), l'aptitude d'un anti-CD52 à améliorer toute efficacité, le calendrier des présentations des données, la suffisance de nos lots cliniques, et la suffisance de trésorerie pour financer nos opérations. 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 2019, dans le rapport financier (incluant le rapport de gestion du conseil d'administration) pour l'exercice clos le 31 décembre 2019 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.