

COMMUNIQUÉ DE PRESSE

**Collectis publie deux articles dans Nature Communications démontrant une validation préclinique solide du produit candidat UCART123 pour traiter la LAM et le TCPDB**

- *Les données précliniques démontrent que le produit candidat UCART123 élimine efficacement la leucémie myéloblastique aigüe (LAM) sans impact majeur sur les cellules progénitrices hématopoïétiques*
- *Les données précliniques démontrent que les cellules UCART123 ont une puissante activité anti-cellules plasmacytoïdes dendritiques blastiques (TCPDB)*

*Le produit candidat UCART123 est actuellement évalué dans le cadre de l'essai clinique de Phase 1 à escalade de doses, AMELI-01, dans la leucémie myéloblastique aigüe en rechute ou réfractaire*

**New York, NY** – Le 28 avril 2022 - 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 la publication de deux articles scientifiques dans Nature Communications sur son produit candidat UCART123, actuellement évalué dans l'essai clinique de Phase 1 à escalade de dose AMELI-01, dans la leucémie myéloblastique aigüe (LAM) en rechute ou réfractaire. Ces données précliniques démontrent une activité préclinique robuste du produit candidat UCART123 et apportent la preuve de concept préclinique de l'approche par cellules CAR T allogéniques pour traiter la LAM.

**Article scientifique :**

***Allogeneic TCRαβ Deficient CAR T-cells Targeting CD123 in Acute Myeloid Leukemia***

Cette étude préclinique, dirigée par le docteur Monica Guzman, Ph.D., Division of Hematology and Oncology, Department of Medicine Weill Cornell Medical College, démontre que le produit candidat de Collectis, UCART123, élimine efficacement les cellules LAM *in vitro* et *in vivo* avec un impact minimal sur les cellules progénitrices hématopoïétiques.

La LAM est une maladie qui trouve son origine dans les cellules souches leucémiques (CSL). CD123 est un antigène de surface exprimé sur les blastes de la LAM ainsi que sur les CSL. Dans cette étude, le potentiel des cellules CAR T allogéniques génétiquement modifiées ciblant CD123 (UCART123) pour éliminer les CSL a été démontré.

« Alors que la majorité des thérapies ciblant l'antigène CD123 évaluées à ce jour reposent sur des approches autologues, avec des contraintes cliniques et logistiques, ces résultats précliniques soutiennent fortement les avantages potentiels de l'approche CAR T allogénique pour traiter la LAM. UCART123 présente une activité cytotoxique sans précédent, contre les échantillons primaires de LAM, avec des effets minimes sur les cellules saines, un inconvénient majeur signalé dans des études précliniques publiées avec des CAR T ciblant CD123. » a déclaré Mark Frattini, MD, Ph.D., Senior Vice President, Head of Clinical Sciences chez Collectis.

L'article publié dans Nature Communications souligne les données précliniques suivantes :

- UCART123 démontre une activité cytotoxique contre les échantillons primaires de LAM avec une toxicité minimale contre les cellules progénitrices hématopoïétiques.
- UCART123 cible les cellules de LAM *in vivo* et améliore la survie globale dans des modèles de xéngreffes dérivées de patients (PDX).
- UCART123 élimine sélectivement les cellules primaires de LAM, sans affecter l'hématopoïèse dans un modèle compétitif de souris humanisées, contenant des cellules primaires de LAM et des cellules progénitrices hématopoïétiques normales.

### **Article scientifique :**

#### **Targeting CD123 in Blastic Plasmacytoid Dendritic Cell Neoplasm using Allogeneic Anti-CD123 CAR T Cells**

Cette étude préclinique, dirigée par la professeure Marina Konopleva, M.D., Ph.D., Department of Leukemia, University of Texas MD Anderson Cancer Center, démontre l'activité antitumorale du produit candidat UCART123 dans des modèles précliniques de tumeur à cellules plasmacytoïdes dendritiques blastiques (TCPDB).

Le TCPDB est une tumeur maligne hématologique rare avec très peu de résultats probants via des traitements conventionnels. L'antigène CD123 est une cible thérapeutique intéressante en vue de son expression à la surface des cellules des TCPDB.

Dans cette étude, l'activité antitumorale des cellules CAR T allogéniques CD123 (UCART123) a été démontrée par des tests *in vitro* et *in vivo* en utilisant des échantillons primaires de TCPDB.

L'article publié dans Nature Communications souligne les données précliniques suivantes :

- Les cellules UCART123 ont une activité cytotoxique spécifique contre des échantillons primaires de TCPDB *in vitro* et dans les modèles PDX *in vivo*.
- Les niveaux de production de cytokines chez les souris sont en corrélation avec la charge tumorale au moment de l'administration de UCART123.
- Une rechute tumorale a été observée liée à la perte d'expression de CD123, par le biais de divers mécanismes génétiques, dans l'un des modèles PDX évalués.

"Ces résultats précliniques confirment notre approche d'utiliser des CAR T allogéniques ciblant CD123 pour traiter des maladies telles que la LAM et le TCPDB. UCART123 est le premier produit candidat allogénique à démontrer l'élimination des cellules de LAM et de TCPDB dans des modèles murins de xénogreffes dérivées de patients, traduite par une amélioration significative de la survie globale, et avec un faible impact sur les cellules progénitrices hématopoïétiques. Cela nous rapproche un peu plus de la mise à disposition de ces thérapies innovantes pour les patients dont les besoins médicaux ne sont pas satisfaits" a déclaré Roman Galetto, Senior Director Preclinical & Program Management chez Cellectis.

L'essai clinique à escalade de dose AMELI-01 (évaluant UCART123) de Cellectis recrute actuellement des patients au niveau de dose 2 (DL2 :  $6.25 \times 10^5$  cellules/kg) avec un régime de conditionnement à base de Fludarabine, Cyclophosphamide et d'Alemtuzumab (FCA).

Ces deux articles sont disponibles dans Nature Communications en cliquant sur les liens ci-dessous :

[Allogeneic TCR \$\alpha\beta\$  Deficient CAR T-cells Targeting CD123 in Acute Myeloid Leukemia](#)

[Targeting CD123 in Blastic Plasmacytoid Dendritic Cell Neoplasm using Allogeneic Anti-CD123 CAR T Cells](#)

### **À propos de Cellectis**

Cellectis 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. 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 23 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 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 média :

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

Contact relations investisseurs :

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

Sandya 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 la signification des résultats précliniques de nos produits candidat et les conséquences qui en découlent sur nos essais cliniques. Les déclarations prospectives sont soumises à des risques connus et inconnus, des incertitudes, incluant les risques nombreux associés au développement de produits candidat 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.