



Communiqué de presse

## GenSight Biologics présente GS010 au Congrès annuel 2017 de l'American Association of Neurology

**Paris, 20 avril 2017, 7h30 CET** – GenSight Biologics (Euronext : SIGHT, FR0013183985, éligible PEA-PME), société biopharmaceutique dédiée à la découverte et au développement de thérapies géniques innovantes pour le traitement des maladies neurodégénératives de la rétine et du système nerveux central, annonce aujourd'hui qu'une communication a été sélectionnée pour une présentation orale au Congrès Annuel 2017 de l'American Association of Neurology (AAN) à Boston, MA, États-Unis, du 22 au 28 avril 2017.

*"Intravitreal rAAV2/2-ND4 (GS010): A gene therapy for vision loss in Leber's Hereditary Optic Neuropathy (LHON) caused by the G11778A ND4 mitochondrial mutation"* sera présenté par le **Pr. José-Alain Sahel, MD**, Directeur de l'Institut de la Vision, Paris, Chef du service d'ophtalmologie au Centre Hospitalier National d'Ophtalmologie des XV-XX, Paris, Professeur et Chef du service d'ophtalmologie à l'University of Pittsburg School of Medicine and Medical Center, et co-fondateur de GenSight Biologics.

- *Présentation orale*
- *S26 – Neuro-ophthalmology / Neuro-otology*
- *Mardi 25 avril 2017, 16h18-16h30 (heure locale)*

### Contacts

#### GenSight Biologics

Thomas Gidoïn  
Directeur Administratif et Financier  
[tgidoïn@gensight-biologics.com](mailto:tgidoïn@gensight-biologics.com)  
+33 (0)1 76 21 72 20

#### NewCap

Relations investisseurs  
Florent Alba  
[gensight@newcap.eu](mailto:gensight@newcap.eu)  
+33 (0)1 44 71 98 55

#### NewCap

Relations Média  
Annie-Florence Loyer  
[afloyer@newcap.fr](mailto:afloyer@newcap.fr)  
+33 (0)1 44 71 94 93

### À propos de GenSight Biologics

GenSight Biologics S.A. (GenSight Biologics) est une société biopharmaceutique dédiée à la découverte et au développement de thérapies géniques innovantes pour le traitement des maladies neurodégénératives de la rétine et du système nerveux central. Le portefeuille de recherche de GenSight Biologics s'appuie sur deux plates-formes technologiques : le ciblage mitochondrial (Mitochondrial Targeting Sequence, ou MTS) et l'optogénétique, visant à préserver ou restaurer la vision chez les patients atteints de maladies neurodégénératives de la rétine. Le candidat médicament le plus avancé de GenSight Biologics, GS010, est en Phase III pour le traitement de la neuropathie optique héréditaire de Leber (NOHL), une maladie mitochondriale rare qui conduit à une perte irréversible de la vue chez les adolescents et les jeunes adultes. En utilisant son approche de thérapie génique, les candidats médicaments de GenSight Biologics sont destinés à offrir aux patients une récupération visuelle fonctionnelle durable après une seule injection intravitréenne dans chaque œil.

### À propos de GS010

GS010 cible la neuropathie optique héréditaire de Leber (NOHL), une maladie mitochondriale rare, de transmission maternelle, caractérisée par une dégénérescence des cellules ganglionnaires de la rétine et provoquant en moins d'un an une perte brutale et irréversible de la vision conduisant généralement à la cécité légale. Ces symptômes apparaissent principalement chez les adolescents et les jeunes adultes. GS010 s'appuie sur une technologie propriétaire de séquence de ciblage mitochondrial (MTS), issue des travaux de l'Institut de la Vision, qui, lorsqu'elle est associée au gène d'intérêt, permet de l'adresser spécifiquement à l'intérieur de la mitochondrie grâce à un vecteur AAV (Adeno-Associated Virus). Le gène d'intérêt est ainsi transféré dans la cellule pour y être exprimé et produire la protéine fonctionnelle, qui sera acheminée à l'intérieur des mitochondries grâce aux séquences nucléotidiques spécifiques, afin de restaurer la fonction mitochondriale déficiente ou manquante.