

GenSight Biologics soumet une demande d'autorisation de mise sur le marché européenne de LUMEVOQ[®], sa thérapie génique pour le traitement de la Neuropathie Optique Héréditaire de Leber (NOHL)

- Décision de l'EMA attendue au S2 2021
- 1^{ère} demande d'Autorisation de Mise sur le Marché pour une thérapie génique traitant une maladie mitochondriale
- Dépôt du dossier à la FDA (US) toujours prévu au S2 2021

Paris, France, le 15 septembre 2020, 7h30 CEST – GenSight Biologics (Euronext : SIGHT, ISIN : 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 avoir déposé une demande d'Autorisation de Mise sur le Marché (AMM) pour son produit phare LUMEVOQ[®] auprès de l'Agence européenne des médicaments (EMA), pour le traitement de patients atteints d'une perte d'acuité visuelle due à une neuropathie optique héréditaire de Leber (NOHL) provoquée par une mutation du gène mitochondrial *ND4*.

« Cette première demande d'AMM de GenSight est une étape majeure qui marque l'évolution de notre organisation de recherche pure vers une organisation commerciale. Elle valide une plate-forme technologique qui a le potentiel de répondre aux importants besoins médicaux non satisfaits des patients atteints d'un certain nombre de maladies rares. Je souhaite remercier les équipes de GenSight et nos partenaires, dont la motivation, la détermination et les efforts ont rendu cette soumission possible, » déclare **Bernard Gilly**, Co-Fondateur et Directeur Général de GenSight Biologics.

La NOHL est une maladie génétique mitochondriale rare, touchant principalement les jeunes adultes. La mutation du gène *ND4* est associée à la perte de vision la plus sévère, la plupart des patients devenant légalement aveugles. Il existe un important besoin médical non satisfait pour les 800 à 1 200 nouveaux patients en Europe et aux Etats-Unis chaque année, et particulièrement ceux frappés par la cécité dans leurs premières années d'activité.

Lenadogene nolparvovec (nom de marque : LUMEVOQ[®]) est un vecteur viral adéno-associé recombinant, sérotype 2 (rAAV2/2), contenant un ADNc codant pour la forme fonctionnelle de la protéine humaine mitochondriale NADH déshydrogénase 4 (ND4), développé spécifiquement pour le traitement de la NOHL associée à une mutation du gène *ND4*. LUMEVOQ[®] a reçu le statut de médicament orphelin de l'EMA en 2011 et de la FDA (*Food and Drug Administration*) aux États-Unis en 2013.

GenSight a déposé une demande d'AMM basée sur le rapport bénéfice/risque déterminé à partir des résultats d'une étude de Phase I/IIa (CLIN-01), de deux études pivot de Phase III (CLIN-03A : RESCUE et CLIN-03B : REVERSE), et de l'étude de suivi à long terme de RESCUE et REVERSE (CLIN 06 –

résultats à 3 ans post-injection). Pour démontrer l'efficacité de LUMEVOQ® dans le contexte d'un effet controlatéral, la Société a utilisé une méthode statistique de comparaison indirecte pour évaluer l'acuité visuelle des patients traités par LUMEVOQ® (données fournies par les études d'efficacité de LUMEVOQ®) comparée à celle de patients non traités (données fournies par les études sur l'évolution naturelle de la maladie et le registre REALITY de GenSight).

GenSight prévoit de déposer la demande d'autorisation de mise sur le marché aux Etats-Unis (*Biologics License Application* [BLA]) auprès de la FDA au 2nd semestre 2021. Les données de la première étude clinique chez l'Homme du second programme de GenSight, GS030, sont attendues au 2nd semestre 2021.

Contacts

GenSight Biologics

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

NewCap

Relations Média
Annie-Florence Loyer
afloyer@newcap.fr
+33 (0)6 88 20 35 59

LifeSci Advisors

Relations Investisseurs
Guillaume van Renterghem
gvanrenterghem@lifesciadvisors.com
+33 (0)6 69 99 37 83

Orpheon Finance

Investisseurs Particuliers
James Palmer
j.palmer@orpheonfinance.com
+33 (0)7 60 92 77 74

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, LUMEVOQ® (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 intra-vitréenne dans chaque œil.