

GenSight Biologics annonce la validation de la demande d'autorisation de mise sur le marché (AMM) de LUMEVOQ[®] par l'Agence Européenne des Médicaments

Paris, France, le 3 novembre 2020, 7h30 CET – GenSight Biologics (Euronext : SIGHT, ISIN : FR0013183985, éligible PEA-PME), société biopharmaceutique dédiée au développement et à la commercialisation de thérapies géniques innovantes pour le traitement des maladies neurodégénératives de la rétine et du système nerveux central, annonce aujourd'hui que la demande d'autorisation de mise sur le marché (AMM) de LUMEVOQ[®] a passé avec succès les contrôles de validation auxquels sont soumis les dossiers déposés à l'Agence européenne des médicaments (EMA), ouvrant officiellement la procédure d'examen du dossier d'AMM. La demande d'utilisation de la thérapie génique LUMEVOQ[®] pour traiter la perte de vision chez les patients atteints de neuropathie optique héréditaire de Leber (NOHL) due à un gène mitochondrial *ND4* muté a été soumise en septembre et la procédure a été officiellement lancée le 29 octobre.

« Nous sommes ravis que la revue formelle du dossier soit en cours, et avons hâte de répondre aux questions que les comités scientifiques de l'EMA pourraient avoir, » déclare **Bernard Gilly**, Co-Fondateur et Directeur Général de GenSight Biologics. « En parallèle, nous poursuivons les préparatifs commerciaux afin de garantir que LUMEVOQ[®] soit disponible pour les patients le plus tôt possible. »

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 NOHL *ND4* 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*. GenSight a déposé une demande d'AMM basée sur le rapport bénéfique/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), appuyé par une méthode statistique de comparaison indirecte pour démontrer l'efficacité de la thérapie génique comparée à l'histoire naturelle.

La prochaine étape administrative importante de l'examen du dossier par l'EMA est une pause après 120 jours, au cours de laquelle le Comité des Thérapies Avancées (CAT) formulera une première série de questions. La société y répond et profite également de cette interruption pour soumettre des informations qui avaient été préalablement convenues avec l'agence.

La société travaille également à la soumission de la demande d'autorisation de mise sur le marché aux Etats-Unis (*Biologics License Application [BLA]*) de LUMEVOQ[®] à la FDA (*Food and Drug Administration*) aux Etats-Unis au second 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 au développement et à la commercialisation 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. 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. Développé dans le traitement de la neuropathie optique héréditaire de Leber (NOHL), le principal produit candidat de GenSight Biologics, LUMEVOQ® (GS010 ; lenadogene nolparvovec), est actuellement en cours d'examen pour enregistrement en Europe, et en phase III préalablement au dépôt de la demande d'autorisation de mise sur le marché aux Etats-Unis (*Biologics License Application* [BLA]).

À propos de LUMEVOQ® (GS010)

LUMEVOQ® (GS010 ; lenadogene nolparvovec) cible la neuropathie optique héréditaire de Leber (NOHL), et 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. « LUMEVOQ » a été autorisé comme nom commercial pour le GS010 (lenadogene nolparvovec) par l'Agence Européenne des Médicaments (EMA) en octobre 2018. LUMEVOQ® est actuellement en cours d'examen pour enregistrement en Europe, et en phase III préalablement au dépôt de la demande d'autorisation de mise sur le marché aux Etats-Unis (*Biologics License Application* [BLA]).

À propos de la Neuropathie Optique Héréditaire de Leber (NOHL)

La neuropathie optique héréditaire de Leber (NOHL) est 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. La NOHL provoque une perte brutale, soudaine et sans douleur de la vision centrale dans le 1^{er} œil, puis le 2nd œil est atteint à son tour, de manière irréversible. 97% des patients présentent une perte bilatérale de la vision en moins d'un an, et cette perte de vision est simultanée dans 25% des cas. La NOHL causerait la cécité visuelle chez environ 1 200 personnes par an aux Etats-Unis et en Europe.