

GenSight Biologics tiendra un webinaire avec des leaders d'opinion sur la publication dans *Nature Medicine* d'un cas de récupération visuelle après traitement optogénétique par GS030

Vendredi 4 juin 2021 – 14h à 15h CEST

Paris, France, le 31 mai 2021, 7h30 CEST – 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 qu'un webinaire avec des leaders d'opinion (KOLs) se tiendra le **4 juin 2021 de 14h à 15h CEST (8h-9h EDT)**. Les KOLs **José-Alain Sahel, MD** (*University of Pittsburgh School of Medicine*) et **Botond Roska, MD, PhD** (*Institute of Molecular and Clinical Ophthalmology Basel*) discuteront du premier cas de récupération visuelle partielle chez un patient aveugle atteint de rétinopathie pigmentaire (RP) à un stade avancé publié dans *Nature Medicine*. Le patient participe actuellement à l'étude PIONEER, un essai clinique de Phase I/II de la thérapie optogénétique de GenSight, GS030. A l'issue du webinaire, les Drs Sahel et Roska seront disponibles pour répondre aux questions.

L'équipe de direction de GenSight reviendra également sur la publication dans *Nature Medicine* et fera un point sur le développement du programme GS030. Administré par injection intravitréenne, GS030 comprend un vecteur viral (GS030-DP) optimisé pour exprimer l'opsine ChrimsonR dans les cellules ganglionnaires de la rétine, et des lunettes de stimulation lumineuse brevetées (GS030-MD) qui projettent un faisceau de lumière sur la rétine traitée, à la longueur d'onde et l'intensité appropriées pour stimuler ChrimsonR.

La conférence en anglais, et en français par traduction simultanée, sera retransmise en direct à l'adresse <https://bit.ly/3uzvG1j>. Une fois enregistré, il vous sera possible de choisir la langue d'écoute. Un enregistrement sera également disponible en différé à cette même adresse.

La publication dans *Nature Medicine* est accessible à <https://www.nature.com/articles/s41591-021-01351-4>. Une vidéo du patient réalisant les tests de perception visuelle, publiée avec les données supplémentaires de l'article, peut être visionnée sur www.gensight-biologics.com.

Contacts

GenSight Biologics

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

NewCap

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

LifeSci Advisors

Relations avec les Investisseurs
Guillaume van Renterghem
gvanrenterghem@lifesciadvisors.com
+41 (0)76 735 01 31

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 nolparavec), est actuellement en cours d'instruction pour un 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 GS030

GS030 s'appuie sur la technologie optogénétique mise au point par GenSight Biologics, une approche innovante visant à restaurer la vision chez des patients aveugles, combinant une thérapie génique oculaire à la stimulation lumineuse de la rétine. Appliquée aux maladies causant la dégénérescence des photorécepteurs, la thérapie génique GS030-DP code une protéine photosensible (ChrimsonR-tdT) qui rend les cellules ganglionnaires de la rétine sensibles à la lumière. ChrimsonR-tdT est une channelrhodopsine activée par la lumière orange à haute intensité. Par conséquent, un dispositif de stimulation lumineuse spécifique est nécessaire pour activer la rétine traitée. Les lunettes de stimulation lumineuse GS030-MD encodent les données de la scène visuelle en temps réel et projettent sur la rétine traitée un faisceau lumineux à une fréquence et intensité spécifiques. Le traitement optogénétique GS030 requiert le port du dispositif de stimulation lumineuse afin de restaurer la fonction visuelle des patients. Avec le soutien de l'Institut de la Vision à Paris et de l'équipe du Dr. Botond Roska au Friedrich Miescher Institute à Bâle, GenSight développe son second candidat-médicament, la thérapie optogénétique combinée GS030, dans le but de restaurer la vision chez des patients souffrant de rétinopathie pigmentaire (RP). La RP est une maladie orpheline causée par plus d'une centaine de mutations dans différents gènes impliqués dans le cycle visuel. Or, la technologie optogénétique de GenSight est indépendante des mutations génétiques responsables de la maladie. Cette technologie ouvre donc la voie à d'autres applications dans des maladies de la rétine impliquant la dégénérescence des photorécepteurs, telles que la forme sèche de la dégénérescence maculaire liée à l'âge (DMLA sèche ou dry-AMD).

À propos de l'optogénétique

L'optogénétique est une technique biologique combinant le transfert d'un gène codant pour une protéine photosensible dans des cellules neuronales, les rendant sensibles à la lumière, et l'utilisation d'un appareil optique et électronique (optronique) projetant de la lumière sur les cellules traitées afin de stimuler une activité neuronale. Il s'agit ainsi d'une méthode de neuromodulation pouvant être utilisée pour modifier ou contrôler individuellement l'activité de certains neurones *in vivo*, avec une extrême précision spatiale et temporelle. L'optogénétique est largement utilisée dans les laboratoires de recherche du monde entier et est une approche prometteuse dans les domaines de la cécité et des maladies neurologiques.

À propos de la rétinopathie pigmentaire

La rétinopathie pigmentaire (RP) est une famille de maladies génétiques orphelines causées par plus de 100 mutations dans différents gènes du cycle visuel. Les patients atteints de RP commencent généralement à perdre la vue à l'adolescence, jusqu'à la cécité totale vers 40 ans. La RP est la cause héréditaire de cécité la plus répandue dans les pays développés, avec une prévalence d'environ 1.5 million de personnes atteintes dans le monde. En Europe et aux Etats-Unis, entre 350 000 et 400 000 patients sont atteints de RP et, chaque année, entre 15 000 et 20 000 nouveaux patients perdent la vue. Aucun traitement curatif de la RP n'est aujourd'hui disponible.

À propos de l'étude PIONEER de Phase I/II

PIONEER est une étude clinique ouverte, multicentrique, à escalade de dose qui a pour but d'évaluer la sécurité et la tolérance de GS030 chez 12 à 18 sujets atteints de rétinopathie pigmentaire à un stade avancé. GS030 allie une thérapie génique (GS030-DP) administrée une seule fois par injection intravitréenne, avec un appareil optronique de stimulation visuelle (GS030-MD). Dans les trois premières cohortes de l'étude, les patients éligibles ont une rétinopathie

pigmentaire non-syndromique à un stade avancé, avec un niveau d'acuité visuelle leur permettant seulement de percevoir la lumière (*Light Perception*) ou bien une incapacité à percevoir la lumière (*No Light Perception*). La cohorte d'extension inclura des patients avec des niveaux d'acuité visuelle leur permettant de détecter une main en mouvement (*Hand Motion*) ou de compter les doigts d'une main (*Count Fingers*).

Conformément au protocole d'étude, trois cohortes de trois sujets chacune recevront une dose croissante de GS030-DP *via* une seule injection intravitréenne dans l'œil le moins fonctionnel. Une cohorte d'extension recevra la dose tolérée la plus élevée. Entre chaque cohorte, un comité de revue des données (*Data Safety Monitoring Board*) examinera les données de sécurité de tous les sujets traités et délivrera ses recommandations avant de traiter la cohorte suivante à une dose plus élevée. Les analyses du critère principale porteront sur la sécurité et la tolérabilité du traitement à un an après injection. L'étude PIONEER est conduite dans trois centres, au Royaume-Uni, en France, et aux États-Unis.