

GenSight Biologics tiendra un webcast avec un leader d'opinion sur les résultats des patients traités bilatéralement avec LUMEVOQ® en usage compassionnel aux États-Unis

- Rendez-vous le 2 décembre 2021 à 14h CET / 8h ET

Paris, France, le 22 novembre 2021, 7h30 CET – GenSight Biologics (Euronext : SIGHT, ISIN : FR0013183985, éligible PEA-PME), société biopharmaceutique spécialisée dans le développement et la commercialisation de thérapies géniques innovantes pour les maladies neurodégénératives rétiniennes et les troubles du système nerveux central, annonce aujourd'hui la tenue prochaine d'un webcast lors duquel le **Dr Sean P. Donahue, MD, PhD**, de l'**Université Vanderbilt** (Nashville, Etats-Unis) présentera les résultats de six patients atteints de neuropathie optique héréditaire de Leber (NOHL) traités bilatéralement avec LUMEVOQ® dans le cadre d'un protocole d'utilisation compassionnelle approuvé par la *U.S. Food and Drug Administration* (FDA).

Le Dr Donahue a présenté ces résultats lors du congrès annuel de l'*American Academy of Ophthalmology* (AAO), qui s'est déroulé à la Nouvelle-Orléans, en Louisiane (États-Unis), du 12 au 15 novembre 2021.

Les données cliniques des patients, qui n'avaient pas pu être inclus dans l'étude de phase III REFLECT de LUMEVOQ® en raison de la limite d'âge minimum ou de la clôture du recrutement, montrent que l'injection intravitréenne bilatérale de la thérapie génique chez ces adolescents et jeunes adultes entraîne « une amélioration substantielle de la fonction visuelle » et la préservation de l'anatomie rétinienne, tout en étant associée à une bonne tolérabilité du médicament. Le Dr Donahue, professeur Coleman, vice-président des affaires cliniques, et chef du département d'ophtalmologie pédiatrique de l'hôpital pour enfants Vanderbilt à Nashville, Etats-Unis, a par ailleurs noté que ces résultats ne « concordaient en rien avec l'histoire naturelle publiée de la mutation 11778 [ND4] ».

L'étude REFLECT évalue l'efficacité et la tolérabilité d'une injection bilatérale de LUMEVOQ® chez les patients atteints de NOHL-ND4 âgés de 15 ans ou plus au début des symptômes, et traités dans l'année suivant le début de la perte visuelle. Le Dr Donahue est l'un des investigateurs principaux de l'étude.

Le webcast se tiendra le **jeudi 2 décembre 2021, à 14h00 CET (8h00 ET)**. À la suite de sa présentation, le Dr Donahue sera disponible pour répondre aux questions. Le webcast se déroulera **en anglais**, avec une **traduction simultanée en français**.

Le lien d'inscription et les numéros de la conférence téléphonique seront fournis à une date ultérieure.

Contacts

GenSight Biologics

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

Image 7

Communication et Relations Presse
Julia Friedlander-Most / Romain Grière
gensight@image7.fr
+33 (0)6 83 00 97 55 / +33 (0)7 86 53 17 29

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. Le candidat médicament le plus avancé de GenSight Biologics, LUMEVOQ® (GS010 ; lenadogene nolparvovec), a fait l'objet d'un dépôt de demande d'AMM en Europe pour le traitement de la neuropathie optique héréditaire de Leber (NOHL), une maladie mitochondriale rare affectant principalement les adolescents et les jeunes adultes et conduisant à une perte irréversible de la vue. 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 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 800-1 200 personnes par an aux Etats-Unis et en Europe.

À propos de LUMEVOQ® (GS010 ; lenadogene nolparvovec)

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* à Paris, 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.