

## GenSight Biologics annonce la publication des données de sécurité de LUMEVOQ<sup>®</sup> sur une période de 5 ans dans le célèbre journal à comité de lecture *American Journal of Ophthalmology*

- Analyse groupée des données de sécurité de 5 études cliniques chez 189 patients constituant la plus grande cohorte ND4-NOHL jamais traitée par thérapie génique
- Confirmation du profil de sécurité à long terme des injections intravitréennes de LUMEVOQ<sup>®</sup> avec des données couvrant une période de 5 ans après administration
- Résultats de sécurité comparables entre les patients traités de manière bilatérale et ceux recevant une injection unilatérale

Paris, France, jeudi 09 mars, 2023, 7h30 CET – GenSight Biologics (Euronext : SIGHT, ISIN : FR0013183985, PEA-PME éligible), une 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 publication d'un article dans le célèbre journal à comité de lecture *American Journal of Ophthalmology* portant sur les données de sécurité groupées des 5 études cliniques menées avec lenadogene nolparavec (LUMEVOQ<sup>®</sup>). Cette analyse représente la plus grande cohorte de patients ND4-NOHL étudiée après un traitement de thérapie génique. Elle confirme le bon profil de sécurité global du produit en termes de tolérance systémique et oculaire, de réponse immunitaire humorale et cellulaire et met en évidence un profil de sécurité comparable entre les patients traités de manière unilatérale et bilatérale.

« La publication de cette analyse de sécurité est une étape clef, qui combine les données des 5 études cliniques réalisées avec LUMEVOQ<sup>®</sup> et représente la plus grande cohorte de patients ND4-NOHL jamais traitée par thérapie génique », a déclaré le **Dr Catherine Vignal-Clermont**, Service de neuro-ophtalmologie et des urgences ophtalmologiques à l'Hôpital de la Fondation Rothschild à Paris et auteure principale de l'article. « Nous sommes très heureux de voir nos travaux publiés dans un journal aussi prestigieux, ce qui souligne l'importance de nos résultats. Compte tenu du bon profil de sécurité démontré, nous pensons que le lenadogene nolparavec s'impose comme une potentielle nouvelle solution thérapeutique pour les patients ND4-NOHL, puisqu'un bénéfice cliniquement pertinent a été établi avec des risques minimes en termes de sécurité. »

L'article, intitulé « *Safety of lenadogene nolparavec gene therapy over 5 years in 189 patients with Leber hereditary optic neuropathy* », analyse les données de sécurité recueillies auprès de patients ND4-NOHL ayant reçu une seule injection intravitréenne unilatérale ou bilatérale de lenadogene nolparavec dans le cadre de 5 études cliniques (REVEAL, RESCUE, REVERSE, RESTORE et REFLECT) et qui ont été suivis jusqu'à 5 ans après le traitement. Presque tous les patients (95%) ont reçu lenadogene nolparavec à une dose de  $9 \times 10^{10}$  génomes viraux par œil et 88% ont été suivis pendant au moins 2 ans.

Les effets indésirables (EI) systémiques étaient principalement de faible intensité et ont été exceptionnellement liés au lenadogene nolparavec ou à la procédure de l'étude. L'absence de

problèmes systémiques liés au lenadogene nolparavec s'explique principalement par la biodissémination limitée du produit. En outre, la réponse immunitaire humorale et cellulaire systémique était limitée, confirmant la nature locale et oculaire de la réponse immunitaire. De même, les EI oculaires étaient généralement légers et répondaient aux traitements ophtalmologiques classiques.

Ce profil de sécurité était cohérent parmi tous les patients, qu'ils soient traités de manière bilatérale ou unilatérale, en termes d'EI, de biodissémination ou encore d'immunogénicité. Aucune différence significative dans la fréquence, la nature ou la sévérité des EI systémiques et oculaires n'a été constatée entre ces deux groupes de patients.

**L'article est disponible en version imprimée et en ligne via ce [lien](#).**

## Contacts

### GenSight Biologics

Directrice de la communication  
Clothilde Caillet  
[ccaillet@gensight-biologics.com](mailto:ccaillet@gensight-biologics.com)

### Taddeo

Communication et Relations Presse  
Julia Friedlander-Most  
[julia.friedlander@taddeo.fr](mailto:julia.friedlander@taddeo.fr)  
+33 (0)6 83 00 97 55

### LifeSci Advisors

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

### Orpheon Finance

Investisseurs Particuliers  
James Palmer  
[j.palmer@orpheonfinance.com](mailto: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 intravitréenne 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 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]). LUMEVOQ® (GS010 ; lenadogene nolparavec), n'a été enregistré dans aucun pays à ce stade ; une demande d'autorisation de mise sur le marché est actuellement en cours d'examen par l'EMA pour le traitement de la neuropathie optique héréditaire de Leber (LHON).

## À propos de LUMEVOQ® (GS010 ; lenadogene nolparavec)

LUMEVOQ® (GS010 ; lenadogene nolparavec) 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 nolparavec) par l'Agence Européenne des Médicaments (EMA) en octobre 2018. LUMEVOQ® (GS010 ; lenadogene nolparavec), n'a été enregistré dans aucun pays à ce stade ; une demande d'autorisation de mise sur le marché est actuellement en cours d'examen par l'EMA pour le traitement de la neuropathie optique héréditaire de Leber (LHON).