

GenSight Biologics fait un point sur l'avis scientifique de l'Agence européenne des médicaments pour LUMEVOQ®

- Etude de Phase III à 2 bras, un contrôle « sham » vs une injection bilatérale de LUMEVOQ®, considérée acceptable pour évaluer l'efficacité
- Traitement des sujets « sham » avec une injection bilatérale de LUMEVOQ® à l'issue de l'analyse positive du critère d'évaluation principal
- GenSight poursuit les discussions avec l'EMA et d'autres agences réglementaires afin de définir le parcours optimal vers une approbation de LUMEVOQ®

Paris, France, le 27 septembre 2023, 7h30 CEST – 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 rétinienne et les troubles du système nerveux central, fait un point aujourd'hui sur l'avis scientifique (Scientific Advice) reçu de l'Agence européenne des médicaments (*European Medicines Agency*, or EMA) sur le protocole d'une nouvelle étude de Phase III pour LUMEVOQ®, la thérapie génique de la Société pour le traitement de la neuropathie optique héréditaire de Leber (NOHL) causée par une mutation du gène mitochondrial *ND4*.

La nouvelle étude, RECOVER, sera un essai contrôlé et randomisé, avec deux bras de traitement : un bras contrôle « sham », dans lequel une procédure simulée mimique une injection dans chaque œil sans qu'aucune substance ne soit injectée, et un bras actif, dans lequel les sujets recevront une injection intravitréenne bilatérale de LUMEVOQ® (GS010). L'Agence a constaté que « *le protocole d'étude proposé avec administration bilatérale semble acceptable pour évaluer les bénéfices du GS010 chez les patients nécessitant le traitement des deux yeux* ». Le protocole prévoit également un suivi en ouvert, dans lequel les sujets du bras contrôle pourront recevoir une injection bilatérale de LUMEVOQ® si le critère d'évaluation principal de l'étude est positif.

L'Agence a formulé des recommandations supplémentaires sur les analyses statistiques prévues, et a élaboré des conseils sur certains sujets que la Société prendra en compte lors de la finalisation du protocole détaillé de l'étude.

L'étude RECOVER est conçue pour répondre aux questions soulevées par le Comité des thérapies avancées (*Committee for Advanced Therapies*, or CAT) de l'EMA lors de l'examen du dossier de demande d'Autorisation de Mise sur le Marché (AMM) déposé en 2020. La Société a pris la décision de retirer ce dossier en avril 2023 afin de pouvoir discuter plus en détail et librement des réserves formulées par l'Agence. Le recrutement de l'étude RECOVER pourra débuter une fois le protocole finalisé ; le produit fabriqué et libéré pour un usage humain ; et l'approbation des autorités locales compétentes et des comités d'éthique obtenue. GenSight prévoit d'initier l'étude au T2 2024, et de la terminer d'ici le S2 2026.

« *Nous sommes ravis que les principales caractéristiques de RECOVER aient été approuvées. Nous pouvons désormais affiner et optimiser le protocole,* » a commenté **Bernard Gilly**, Co-fondateur et

Directeur Général de GenSight Biologics. « *Nous continuons de garder en vue l'objectif de fournir un accès le plus rapide possible aux patients atteints de NOHL, et nous efforcerons donc de fournir des données qui répondent aux attentes des régulateurs.* »

GenSight prévoit également de partager les principales caractéristiques du protocole RECOVER avec d'autres autorités réglementaires, telles que l'Agence britannique (MHRA) et l'Agence américaine (US FDA). Une première discussion avec la MHRA devrait avoir lieu en novembre 2023. La Société prévoit d'échanger avec la FDA dans les mois à venir, afin que les résultats de RECOVER soient acceptés par toutes les principales autorités réglementaires.

Contacts

GenSight Biologics

Directeur Administratif et Financier
Thomas Gidoin
tgidoin@gensight-biologics.com

LifeSci Advisors

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

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 nolparvovec), est en phase III préalablement au dépôt de la demande d'autorisation de mise sur le marché en Europe et aux Etats-Unis (*Biologics License Application [BLA]*). LUMEVOQ® (GS010 ; lenadogene nolparvovec), n'a été enregistré dans aucun pays à ce stade.

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. LUMEVOQ® (GS010 ; lenadogene nolparvovec), n'a été enregistré dans aucun pays à ce stade.