

## GenSight Biologics annonce des communications scientifiques sur LUMEVOQ® au Congrès 2024 de l'AAO

**Paris, France, le jeudi, 17 octobre 2024, 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 les maladies neurodégénératives de la rétine et du système nerveux central, annonce aujourd'hui que de nouvelles données et analyses scientifiques relatives à la thérapie génique LUMEVOQ® seront présentées lors du congrès annuel 2024 de l'Académie Américaine d'Ophthalmologie (AAO) qui se tient à Chicago, Illinois, Etats-Unis, du 18 au 21 octobre 2024.

Des experts dans le domaine de la Neuropathie Optique Héritaire de Leber (NOHL) présenteront une analyse comparative entre l'histoire naturelle de la NOHL, idébénone et LUMEVOQ®, des données en vie réelle de LUMEVOQ®, des résultats concernant l'effet controlatéral, et des données relatives aux effets à long terme de l'injection bilatérale de LUMEVOQ®.

Poster : “*Meta-analysis of Treatment Outcomes for Patients with m.11778G>A MT-ND4 Leber Hereditary Optic Neuropathy*” (Poster PO004)

- Présenté par : **Nancy J. Newman, MD**, Emory University School of Medicine, Atlanta, Georgie, Etats-Unis
- Date et heure : samedi 19 octobre 2024, de 9h15 à 10h15 CDT
- Lieu : Hall A, Poster Theater

Présentation : “*Efficacy and Safety of Lenadogene Nolparvec Gene Therapy for LHON in Real-Life Settings*” (PA023)

- Présentée par : **Valerie Biousse, MD**, Emory University School of Medicine, Atlanta, Georgie, Etats-Unis
- Session: OP04 Neuro-Ophthalmology Original Papers
- Date et heure : samedi, 19 octobre 2024, de 14h48 – 15h00 CDT
- Lieu : S405

Poster : “*Post-Mortem Analyses with Histopathological and Molecular Assessments Following AAV2 Gene Therapy in LHON*” (Poster PO093)

- Présenté par : **Alfredo A. Sadun, MD, PhD**, Doheny Eye Centers-UCLA, Pasadena, Californie, Etats-Unis
- Date et heure : dimanche 20 octobre 2024, de 9h15 à 9h45 CDT
- Lieu : Station 2, Poster Discussion Lobby

Présentation : “*Four-Year Results of Bilateral Injection of Lenadogene Nolparvec Gene Therapy for LHON*” (PA047)

- Présentée par : **Patrick Yu-Wai-Man, FRCOphth, MBBS, PhD**, Université de Cambridge, Cambridge, Angleterre
- Session: OP08 Retina, Vitreous Original Papers
- Date et heure : dimanche 20 octobre 2024, de 14h48 à 14h55 CDT
- Lieu : S405

## Contacts

### GenSight Biologics

Directeur Administratif et Financier  
Jan Eryk Umiastowski  
[jeumiastowski@gensight-biologics.com](mailto:jeumiastowski@gensight-biologics.com)

### LifeSci Advisors

Relations avec les Investisseurs  
Guillaume van Renterghem  
[gvanrenterghem@lifesciadvisors.com](mailto: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.

## À propos de la Neuropathie Optique Héritaire 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<sup>er</sup> œil, puis le 2<sup>nd</sup> 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.

## 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.