

GenSight Biologics annonce des communications scientifiques sur LUMEVOQ® au Congrès 2024 du NANOS

Paris, France, le lundi, 4 mars 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 50e Congrès Annuel de la *North American Neuro-Ophthalmology Society* (NANOS) qui se tient à Honolulu, Hawaï Etats-Unis, du 2 au 7 mars 2024.

Des leaders d'opinion (*KOLs*) dans le domaine de la Neuropathie Optique Héritaire de Leber (NOHL) communiqueront des résultats récents concernant l'effet controlatéral, partageront des données en vie réelle de LUMEVOQ®, et présenteront une analyse comparative entre l'histoire naturelle de la NOHL, l'idébénone et LUMEVOQ®.

Poster : “*Unilateral injection of lenadogene nolparvovec gene therapy induces successful transfection of retinal ganglion cells in both eyes*”

- Présenté par : **Alfredo A. Sadun, MD, PhD**, Doheny Eye Centers-UCLA, Pasadena, Californie, Etats-Unis
- Date et heure : dimanche 3 mars 2024, de 12h00 à 13h00 HST
- Lieu : Lanai room

Poster : “*In the real-life setting, lenadogene nolparvovec gene therapy improves visual acuity in patients with MT-ND4 LHON*”

- Présenté par : **Chiara La Morgia, MD**, Université de Bologne, Italie
- Date et heure : mardi 5 mars 2024, de 19h00 à 20h00 HST
- Lieu : Lanai room

Poster : “*Lenadogene nolparvovec gene therapy improves visual recovery more than idebenone in m.11778G>A MT-ND4 LHON, and both treatments exceed the natural course of the disease*”

- Présenté par : **Nancy J. Newman, MD**, Emory University School of Medicine, Atlanta, Georgie, Etats-Unis
- Date et heure : mardi 5 mars 2024, de 20h00 à 21h30 HST
- Lieu : Lanai room

En outre, **Benson S. Chen, MBChB, MSc, FRACP**, Département de Neurosciences Cliniques, Université de Cambridge et *Cambridge Eye Unit, Addenbrooke's Hospital*, Royaume-Uni, présentera des données sur la qualité de vie des patients atteints de Neuropathie Optique Héritaire de Leber (NOHL) lors d'une présentation orale.

Présentation orale : “*Vision-Related Quality of Life in LHON Patients Treated with Lenadogene Nolparvovec Gene Therapy: Analysis of the VFQ-25 Using Rasch Measurement Theory*”

- Session : Scientific Platform Session III
- Date et heure : mardi 5 mars 2024, de 11h15 à 11h30 HST
- Lieu : Kauai/Maui (GS) room

Contacts

GenSight Biologics

Directeur Administratif et Financier
Ivan Tortet
itortet@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 nolparvec), 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 nolparvec), n'a été enregistré dans aucun pays à ce stade.

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.

À propos de LUMEVOQ® (GS010 ; lenadogene nolparvec)

LUMEVOQ® (GS010 ; lenadogene nolparvec) 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 nolparvec) par l'Agence Européenne des Médicaments (EMA) en octobre 2018. LUMEVOQ® (GS010 ; lenadogene nolparvec), n'a été enregistré dans aucun pays à ce stade.