



Ne pas distribuer, directement ou indirectement, aux Etats-Unis, au Canada, en Australie ou au Japon

GenSight Biologics reçoit l'accord de la FDA (IND) pour entrer en Phase III avec GS010

GenSight Biologics initiera deux études cliniques de Phase III avec GS010 dans la neuropathie optique héréditaire de Leber (LHON)

Paris, France, 10 Septembre 2015 – GenSight Biologics S.A. (**GenSight**), société biopharmaceutique dédiée à la découverte et au développement de thérapies géniques innovantes pour le traitement des maladies mitochondriales et neurodégénératives de l'œil, et à l'avenir, du système nerveux central, annonce aujourd'hui que la FDA (*U.S. Food and Drug Administration*) a accepté une IND (*Investigational New Drug Application*) pour deux études de Phase III avec GS010 dans le traitement de la neuropathie optique héréditaire de Leber (LHON).

GenSight a également soumis un CTA (*Clinical Trial Application*) dans plusieurs pays de l'Union Européenne.

Bernard Gilly, Président-Directeur général de GenSight, a commenté: *“Je suis ravi que GenSight ait franchi cette étape réglementaire clé pour GS010, dans la continuité du succès de la Phase I/II en France, et nous sommes impatients de pouvoir initier ces études à la fois aux US et en Europe.”*

Pr. Nancy J. Newman, directeur du Département de Neuro-Ophtalmologie, Emory University School of Medicine, Atlanta, USA, a également commenté: *“Les patients sont dans l'attente d'un traitement sûr pour la LHON. GS010 est porteur d'une promesse et pourrait bien ouvrir la voie vers une nouvelle thérapie innovante. Nous sommes impatients de recruter les premiers patients aux US.”*

GS010 est une thérapie génique basée sur une injection intravitréenne dans l'œil ciblant la LHON induite par la mutation du gène ND4, une maladie génétique mitochondriale rare. GS010 est développé autour de la Séquence de Ciblage Mitochondrial (MTS), plate-forme technologique propriétaire de GenSight, qui permet aux protéines mitochondriales manquantes d'être acheminées à l'intérieur de la mitochondrie, permettant ainsi la restauration de la fonction mitochondriale.

Les études cliniques sont conçues pour démontrer une efficacité chez des sujets atteints de la LHON induite par la mutation G11778A ND4, et ayant subi une perte d'acuité visuelle depuis moins d'un an. Les deux études menées en parallèle incluront des patients présentant une perte d'acuité visuelle ne dépassant pas 6 mois, et comprise entre 6 et 12 mois respectivement. Les deux études sont décrites comme suit:

- L'étude **RESCUE**: *“Étude clinique pivotale randomisée, en double aveugle, contrôlée par injection simulée, évaluant l'efficacité d'une injection intravitréenne unique de GS010 (rAAV2/2-ND4), chez des sujets atteints depuis 6 mois au maximum d'une neuropathie optique héréditaire de Leber due à une mutation G11778A du gène mitochondrial NADH déshydrogénase 4”*



Ne pas distribuer, directement ou indirectement, aux Etats-Unis, au Canada, en Australie ou au Japon

- L'étude **REVERSE** : "Étude clinique pivotale randomisée, en double aveugle, contrôlée par injection simulée, évaluant l'efficacité d'une injection intravitréenne unique de GS010 (rAAV2/2-ND4), chez des sujets atteints depuis 6 à 12 mois d'une neuropathie optique héréditaire de Leber due à une mutation G11778A du gène mitochondrial NADH déshydrogénase 4"

Chacune de ces études prévoit de randomiser 36 sujets, et sera menée dans 7 centres (1 en France, Allemagne, Italie et au Royaume-Uni et 3 aux Etats-Unis) sous réserve des autorisations réglementaires et des comités d'éthique. Le premier patient, *First Patient First Visit* (FPFV), devrait être inclus d'ici la fin de l'année 2015.

L'objectif principal des études RESCUE et REVERSE est d'évaluer l'efficacité de GS010 comparé à l'oeil non-traité (*sham*), sur des patients présentant une perte d'acuité visuelle depuis moins d'un an, en mesurant la variation d'acuité visuelle après 48 semaines par rapport à l'acuité visuelle initiale (*baseline*).

Plus d'informations

A propos de la neuropathie optique héréditaire de Leber (LHON)

La LHON est une maladie génétique de transmission maternelle provoquant une perte irréversible et sévère de la vision jusqu'à la cécité totale chez les adolescents et les jeunes adultes. La LHON affecte la capacité des patients à effectuer des tâches de la vie quotidienne, limitant grandement leur autonomie, et en particulier la lecture, la conduite ou simplement reconnaître des visages. La qualité de vie des patients atteints de LHON est de manière générale très pauvre. La LHON causerait la cécité visuelle chez environ 1 400 à 1 500 personnes par an aux Etats-Unis et en Europe.

La LHON a pour origine des mutations de gènes mitochondriaux codant pour des protéines appelées NADH déshydrogénase. Ces protéines font partie d'un large complexe enzymatique nécessaire à la production d'adénosine triphosphate (ATP), qui constitue la principale source d'énergie d'une cellule. Trois gènes différents codant pour quatre NADH déshydrogénase ont été reliés à la LHON et sont considérés comme étant les principales mutations à l'origine de la maladie. La mutation ND4 représente 75% d'entre elles.

A propos de GenSight Biologics

GenSight Biologics S.A. (**GenSight**) est une société biopharmaceutique dédiée à la découverte et au développement de thérapies géniques innovantes pour le traitement des maladies mitochondriales et neurodégénératives de l'œil, et à l'avenir, du système nerveux central. Le portefeuille de recherche de GenSight s'appuie sur deux plates-formes technologiques propriétaires: la séquence de ciblage mitochondrial (Mitochondrial Targeting Sequence, ou MTS) et l'optogénétique, visant à préserver ou restaurer la vision chez les patients atteints de maladies ophtalmologiques neurodégénératives. Le produit principal de GenSight, GS010, est sur le point de débiter un essai de phase III pivot pour le traitement de la neuropathie optique héréditaire de Leber (LHON), une maladie mitochondriale rare qui conduit à une perte irréversible de la vue chez les adolescents et les jeunes adultes. En utilisant son approche de thérapie génique, les candidats médicaments de GenSight sont conçus pour être administrés en un seul traitement dans chaque œil par injection intravitréenne ou sous-rétinienne visant à offrir aux patients une guérison fonctionnelle durable, potentiellement pour le reste de leur vie.



Ne pas distribuer, directement ou indirectement, aux Etats-Unis, au Canada, en Australie ou au Japon

Pour plus d'informations: www.gensight-biologics.com

Contacts:

GenSight Biologics

Directeur Financier

Thomas Gidoïn

+33 6 01 36 35 43

tgidoïn@gensight-biologics.com

NewCap

Relations Media

Annie-Florence Loyer

+33 1 44 71 00 12

afloyer@newcap.fr

Le présent communiqué de presse ne constitue pas une offre de vente de valeurs mobilières ou la sollicitation d'une offre d'achat de valeurs mobilières aux Etats-Unis d'Amérique et ne constitue pas une offre, une sollicitation ou une vente dans tout Etat ou autre juridiction dans laquelle une telle offre, sollicitation ou vente pourrait faire l'objet de restrictions. Des valeurs mobilières ne peuvent être offertes ou vendues aux Etats-Unis d'Amérique en l'absence d'enregistrement ou de dispense d'enregistrement au titre du US Securities Act de 1933, tel que modifié (le « Securities Act »). Tout placement des titres auprès du public aux États-Unis d'Amérique doit faire l'objet d'un prospectus qui peut être obtenu auprès de l'émetteur et contenant des renseignements détaillés sur la société et les membres de sa direction ainsi que ses états financiers. Ce communiqué de presse a été préparé conformément à la Règle 135(e) du Securities Act.