



Communiqué de presse

GenSight Biologics présente des résultats de GS010 et GS030 au Congrès 2017 de l'ARVO

**Congrès annuel de l'Association for Research in Vision and Ophthalmology
Baltimore, du 7 au 11 mai 2017**

Paris, 8 mai 2017, 7h30 CET – GenSight Biologics (Euronext : SIGHT, FR0013183985, éligible PEA-PME), société biopharmaceutique dédiée à la découverte et au développement de thérapies géniques innovantes pour le traitement des maladies neurodégénératives de la rétine et du système nerveux central, annonce aujourd'hui que cinq communications ont été sélectionnées pour une présentation orale et quatre sessions de posters au Congrès Annuel de l'Association for Research in Vision and Ophthalmology (ARVO) à Baltimore, MD, Etats-Unis, du 7 au 11 mai 2017.

GS010 - Résultats de l'étude clinique de Phase I/II après 78 semaines de suivi

"Phase I/IIa Visual Acuity Outcomes 1.5-Years Post-Treatment with rAAV2/2-ND4, Investigational Gene Therapy for ND4 LHON" sera présenté par le Pr. José-Alain Sahel, MD, Directeur de l'Institut de la Vision, Paris, Chef du service d'ophtalmologie au Centre Hospitalier National d'Ophtalmologie des XV-XX, Paris, Professeur et Chef du service d'ophtalmologie à l'University of Pittsburg School of Medicine and Medical Center, et co-fondateur de GenSight Biologics.

- *Poster*
- *Session: 452 Low Vision Populations, Services and Treatments*
- *Poster 4681 - B0588*
- *Mercredi 10 mai 2017, 11h00-12h45*

GS010 - Caractéristiques de la baseline dans les études cliniques de Phase III RESCUE et REVERSE

"Preliminary Baseline Characteristics of Patients with LHON Enrolled in RESCUE and REVERSE Gene Therapy Trials" sera présenté par le Pr. José-Alain Sahel, MD, Directeur de l'Institut de la Vision, Paris, Chef du service d'ophtalmologie au Centre Hospitalier National d'Ophtalmologie des XV-XX, Paris, Professeur et Chef du service d'ophtalmologie à l'University of Pittsburg School of Medicine and Medical Center, et co-fondateur de GenSight Biologics.

- *Poster*
- *Session: 416 Optic Neuropathy*
- *Poster 3865 - A0036*
- *Mercredi 10 mai 2017, 8h30-10h15*

GS030 – Optogénétique

"Long term visual restoration using optogenetic engineering of retinal ganglion cells with AAV2.7m8 – ChrimsonR – tdTomato" sera présenté par Grégory Gauvain, Sorbonne Universités, UPMC Univ Paris 06, INSERM, CNRS, Institut de la Vision, Paris, France.

- *Présentation orale*
- *Session: 210 Diseases and Protection*
- *Présentation 1219*
- *Lundi 8 mai 2017, 9h15-9h30*

“Visual acuity and optical flow in primate retinal ganglion cells treated with an optogenetic vision restoration strategy using ChrimsonR” sera présenté par Himanshu Akolkar. Sorbonne Universités, UPMC Univ Paris 06, INSERM, CNRS, Institut de la Vision, Paris, France.

- Poster
- Session: 545 Visual disease Models and Restoration
- Poster 5883 - B0475
- Jeudi 11 mai 2017, 11h30-13:15

“Modeling the dynamics of light-driven microbial opsin ChrimsonR” sera présenté par Quentin Sabatier, Sorbonne Universités, UPMC Univ Paris 06, INSERM, CNRS, Institut de la Vision, Paris, France.

- Poster
- Session: 545 Visual disease Models and Restoration
- Poster 5873 - B0465
- Jeudi 11 mai 2017, 11h30-13:15

Contacts

GenSight Biologics

Thomas Gidoïn
Directeur Administratif et Financier
tgidoïn@gensight-biologics.com
+33 (0)1 76 21 72 20

NewCap

Relations investisseurs
Florent Alba
gensight@newcap.eu
+33 (0)1 44 71 98 55

NewCap

Relations Média
Annie-Florence Loyer
afloyer@newcap.fr
+33 (0)1 44 71 94 93

À propos de GenSight Biologics

GenSight Biologics S.A. (GenSight Biologics) est une société biopharmaceutique dédiée à la découverte et au développement 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. Le candidat médicament le plus avancé de GenSight Biologics, GS010, est en Phase III pour le traitement de la neuropathie optique héréditaire de Leber (NOHL), 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 Biologics sont destinés à offrir aux patients une récupération visuelle fonctionnelle durable après une seule injection intravitréenne dans chaque œil.

À propos de GS010

GS010 cible la neuropathie optique héréditaire de Leber (NOHL), 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. GS010 s'appuie sur une technologie propriétaire de séquence de ciblage mitochondrial (MTS), issue des travaux de l'*Institut de la Vision*, 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.

À propos de GS030

GS030 s'appuie sur la technologie optogénétique de GenSight, une approche innovante visant à restaurer la vision chez les patients en utilisant la thérapie génique afin d'introduire un gène codant pour une protéine photosensible à l'intérieur de cellules spécifiques de la rétine pour les rendre sensibles à la lumière. Un dispositif de stimulation prenant la forme de lunettes, et visant à stimuler spécifiquement les cellules transduites, est développé afin d'amplifier le signal lumineux. Sur la base de sa technologie optogénétique, et avec le soutien de l'*Institut de la Vision* à Paris, GenSight développe son second candidat-médicament, GS030, dans le but de restaurer la vision chez des patients souffrant de rétinopathie pigmentaire, ou RP. La RP est une maladie orpheline causée par de multiples mutations de plusieurs gènes impliqués dans le cycle visuel. La technologie optogénétique de GenSight est indépendante des

mutations génétiques responsables de la maladie. En moyenne, les patients souffrant de RP commencent à perdre la vue à l'âge de jeune adulte, pour atteindre la cécité entre 40 et 45 ans. Il n'y a actuellement aucun traitement pour la RP. La prévalence est estimée à 1,5 million de personnes affectées dans le monde. GS030 pourrait bénéficier à des stades précoces de la maladie.

À propos de l'Optogénétique

L'optogénétique est une technique biologique qui vise à transférer un gène codant pour une protéine photosensible dans des cellules neuronales dans le but de provoquer une réponse de ces cellules à la stimulation lumineuse. Il s'agit ainsi d'une méthode de neuromodulation pouvant être utilisée pour modifier ou contrôler individuellement l'activité de certains neurones, dans des tissus vivants ou même in-vivo, avec une extrême précision spatiale et temporelle. L'optogénétique combine l'utilisation de la thérapie génique, pour transférer le gène dans les neurones cibles, et l'utilisation de l'optique et de l'optronique pour délivrer la lumière aux cellules transduites. L'optogénétique est largement utilisée dans les laboratoires de recherche du monde entier et est une approche prometteuse dans les domaines de la malvoyance et des maladies neurologiques.