



Communiqué de presse

GenSight Biologics présente des résultats de GS010 au Congrès 2017 du NANOS

**43^{ème} Congrès annuel du North American Neuro-Ophthalmology Society
Washington D.C., du 1^{er} au 6 avril 2017**

Paris, 28 mars 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 trois communications ont été sélectionnées pour une présentation orale et deux sessions de posters au 43^{ème} Congrès Annuel de la *North American Neuro-Ophthalmology Society (NANOS)* à Washington, DC, Etats-Unis, du 1^{er} au 6 avril 2017.

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 Dr. Catherine Vignal, investigateur principal de l’étude et Chef de service d’ophtalmologie à la Fondation Ophtalmologique A. de Rothschild à Paris, France.

- *Présentation orale*
- *Platform Session II*
- *Mardi 4 avril 2017, 10h00-10h15*

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 Dr. Patrick Yu-Wai-Man, investigateur coordinateur international de l’étude REVERSE et consultant honoraire en ophtalmologie au *Moorfields Eye Hospital* à Londres et au *Newcastle Hospital*, Royaume-Uni.

- *Poster*
- *Poster Session II: Scientific Advancements in Neuro-Ophthalmology*
- *Catégorie: Disorders of the Anterior Visual Pathway (Retina, Optic Nerve, and Chiasm)*
- *Poster #189*
- *Mardi 4 avril 2017, 18h45-19h30*

Revue de littérature pédiatrique de la NOHL

“Pediatric Leber Hereditary Optic Neuropathy (LHON): A Literature Review” sera présenté par le Dr. Catherine Vignal, Chef de service d’ophtalmologie à la Fondation Ophtalmologique A. de Rothschild à Paris, France.

- *Poster*
- *Poster Session II: Scientific Advancements in Neuro-Ophthalmology*
- *Catégorie: Disorders of the Anterior Visual Pathway (Retina, Optic Nerve, and Chiasm)*
- *Poster #186*
- *Mardi 4 avril 2017, 19h30-20h15*

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 RESCUE et REVERSE

RESCUE et REVERSE sont deux études distinctes pivotales de Phase III randomisées, en double masqué, contrôlées par injection simulée (sham), conçues pour évaluer l'efficacité d'une injection intravitréenne unique de GS010 (rAAV2/2-ND4) chez des sujets atteints de la NOHL induite par la mutation G11778A ND4.

Le critère d'évaluation principal mesurera la différence d'efficacité de GS010 entre les yeux traités et les yeux non-traités (sham), sur la base de l'acuité visuelle (Best Corrected Visual Acuity ou BCVA), mesurée à l'aide de l'échelle ETDRS à 48 semaines après injection. Les scores « Log of the Minimal Angle of Resolution » des patients, ou LogMAR, qui sont dérivés du nombre de lettres lues sur l'échelle ETDRS, seront utilisés à des fins statistiques. Les deux études ont été conçues pour évaluer une différence statistiquement significative d'au moins 15 lettres ETDRS entre les yeux traités et non-traités (sham), ajustés de l'acuité visuelle initiale (baseline).

Les critères d'évaluation secondaires incluront l'application de l'analyse principale aux yeux présentant à l'inclusion la meilleure acuité visuelle initiale (« meilleur œil ») ayant reçu GS010 comparés à ceux ayant reçu la procédure sham, ainsi qu'aux yeux présentant la moins bonne acuité visuelle initiale (« moins bon œil ») ayant reçu GS010 comparés à ceux ayant reçu la procédure sham. Également, une évaluation de la proportion de patients « répondeurs » sera réalisée, incluant notamment le pourcentage de patients qui maintiennent leur acuité visuelle (perte < ETDRS 15L), le pourcentage de patients qui améliorent leur acuité visuelle de 15 lettres ETDRS ou plus, ainsi que le pourcentage de patients présentant une acuité visuelle finale >20/200, ou 1/10. Les paramètres visuels mesurés incluront également les champs visuels automatisés, la tomographie par cohérence optique, ainsi que la sensibilité aux couleurs et aux contrastes, en plus des mesures de qualité de vie, de bio-dissémination, et de réponse immunitaire post-injection.

Les études sont menées en parallèle, chez 36 patients chacune, dans 7 centres aux Etats-Unis, au Royaume-Uni, en France, en Allemagne et en Italie. Les premiers résultats à 48 semaines de suivi sont attendus au 1^{er} semestre 2018.

Identifiants ClinicalTrials.gov :

REVERSE: NCT02652780

RESCUE: NCT02652767