

GenSight Biologics recrute le premier patient dans l'étude clinique de Phase I/II PIONEER, première chez l'Homme, de GS030 combinant thérapie génique et optogénétique dans le traitement de la rétinopathie pigmentaire

Paris, France, le 26 octobre 2018, 7h30 CEST – GenSight Biologics (Euronext : SIGHT, ISIN : 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 le premier sujet de l'étude clinique de Phase I/II, PIONEER, de GS030 a été traité au Moorfields Eye Hospital, Londres, Royaume-Uni.

“Nous sommes particulièrement ravis de voir notre second programme, GS030, entrer en Clinique. C'est un formidable accomplissement pour l'équipe, et un grand pas en avant pour les patients. L'optogénétique est étudiée depuis des années dans les laboratoires de recherche, et s'annonce comme une approche particulièrement prometteuse dans le combat contre la cécité et les autres pathologies sensorielles et neurologiques,” a déclaré **Bernard Gilly**, Co-fondateur et Directeur Général de GenSight Biologics. *“GenSight poursuit sa stratégie en développant des approches innovantes pour lutter contre les maladies cécitantes.”*

PIONEER est une première étude chez l'homme, multicentrique, ouverte, de recherche de dose, qui vise à évaluer la sécurité et la tolérance de GS030 chez 18 patients atteints de rétinopathie pigmentaire. GS030 associe une thérapie génique (GS030-DP) administrée via une unique injection intra-vitréenne, à un dispositif optronique de stimulation visuelle (GS030-MD).

GS030 s'appuie sur la technologie optogénétique développée par GenSight, qui utilise la thérapie génique pour introduire un gène codant pour une protéine photosensible à l'intérieur des cellules ganglionnaires de la rétine via une unique injection intra-vitréenne, les rendant sensibles à la lumière et contournant les photorécepteurs détruits.

Les patients éligibles dans les trois premières cohortes seront ceux atteints de rétinopathie pigmentaire non syndromique avancée, présentant une acuité visuelle très basse à *no light perception* (NLP) ou *light perception* (LP). La cohorte d'extension inclura également des patients moins sévères, présentant un niveau d'acuité visuelle à *hand motion* (HM) voire *counting fingers* (CF).

Selon le protocole, trois cohortes de trois patients chacune se verront administrer une dose croissante de GS030-DP en une seule injection intra-vitréenne dans l'œil le plus atteint. Une quatrième cohorte d'extension recevra la plus forte dose tolérée. Un comité de surveillance et de suivi indépendant (DSMB) examinera les données de sécurité des patients traités de chaque cohorte et émettra des recommandations avant de passer à la dose suivante.

Le critère principal d'évaluation sera la sécurité et la tolérance un an après l'injection.

“Je suis absolument ravi de franchir cette étape, car cela ouvre potentiellement la voie vers une amélioration importante de la qualité de vue et de vie des patients atteints de RP. C'est également une

reconnaissance de la qualité de la collaboration entre l'équipe de l'Institut de la Vision et GenSight," a commenté le **Dr. José-Alain Sahel**, Directeur de l'Institut de la Vision (Sorbonne-Université/Inserm/CNRS), Paris; Chef du service d'Ophtalmologie, Centre Hospitalier National d'Ophtalmologie des XV-XX, Paris; Professeur et Chef du service d'Ophtalmologie, University of Pittsburgh School of Medicine et UPMC (University of Pittsburgh Medical Center).

GS030 a reçu la désignation de médicament orphelin aux États-Unis et en Europe. PIONEER est conduite dans trois centres cliniques au Royaume-Uni, en France et aux États-Unis.

GenSight entend terminer le recrutement de l'étude au dernier trimestre 2019. Des observations préliminaires pour la première cohorte pourraient être disponibles au premier semestre 2019, et les résultats de topline pour la totalité des patients sont attendus au dernier trimestre 2020.

Contacts

GenSight Biologics

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

James Palmer

Relations investisseurs Europe
j.palmer@orpheonfinance.com
+33 7 60 92 77 74

NewCap

Relations Média
Annie-Florence Loyer
afloyer@newcap.fr
+33 (0)1 44 71 00 12

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 intra-vitréenne dans chaque œil.

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, les rendant 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 et de l'équipe du Dr. Botond Roska au Friedrich Miescher Institute à Bâle, 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. GS030 pourrait bénéficier à des stades précoces de la maladie. Cette technologie ouvre la voie à d'autres applications dans des maladies de la rétine impliquant la perte des photorécepteurs, et pourrait être transférable à la forme sèche de la dégénérescence maculaire (DMLA sèche ou dry-AMD).

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'électronique (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.

A propos de la rétinopathie pigmentaire (RP)

La rétinopathie pigmentaire (RP) est une famille de maladies génétiques orphelines causées par plusieurs mutations dans de nombreux gènes du cycle visuel. Plus de 100 gènes sont impliqués. Les patients atteints de RP commencent généralement à perdre la vue à l'adolescence, jusqu'à la cécité totale vers 40 ans. La RP est la cause héréditaire de cécité la plus répandue dans les pays développés, avec une prévalence d'environ 1.5 million de personnes atteintes dans le monde. En Europe et aux Etats-Unis, entre 350 000 et 400 000 patients sont atteints de RP et, chaque année, entre 15 000 et 20 000 nouveaux patients perdent la vue. Aucun traitement curatif de la RP n'est aujourd'hui disponible.