

GenSight Biologics confirme son intention de soumettre le dossier de LUMEVOQ[®] en Europe en septembre 2020 à l'issue de la réunion de pré-soumission avec l'EMA

Paris, France, le 15 avril 2020, 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 avoir rencontré l'Agence Européenne des Médicaments (EMA), dans le cadre de la réunion de pré-soumission de son principal produit LUMEVOQ[®] (GS010; lenadogene nolparvovec).

La réunion de pré-soumission de l'EMA est une étape administrative importante dans la préparation d'une demande d'autorisation de mise sur le marché (AMM). Sur la base de cette réunion, GenSight Biologics confirme son intention de soumettre la demande d'AMM de LUMEVOQ[®] en septembre 2020.

LUMEVOQ[®] est la thérapie génique développée par la Société pour le traitement de la neuropathie optique héréditaire de Leber (NOHL), une maladie rare entraînant une rapide et irréversible perte de vision. Les études pivotales de LUMEVOQ[®] en Europe, RESCUE et REVERSE, ont pris fin en 2019. Les patients inclus dans ces essais ont été invités à participer à une étude de suivi à long terme. En parallèle, GenSight Biologics a mené une étude d'histoire naturelle (REALITY) et des études mécanistiques chez l'animal pour compléter les données de RESCUE et REVERSE.

Au cours de sa réunion avec GenSight Biologics, l'EMA a confirmé les informations nécessaires à la soumission de la Société prévue en septembre. L'agence a également formulé des recommandations et orientations sur divers sujets administratifs, ainsi que des conseils sur des sujets à discuter lors des réunions entre la Société et les Rapporteurs et Co-rapporteurs, prévues pour juin 2020.

« *Nous sommes ravis de nos progrès vers le dépôt réglementaire de LUMEVOQ[®] en Europe, car cela nous rapproche d'un traitement innovant, efficace et sûr pour une grande partie des patients atteints de NOHL.* » commente **Bernard Gilly**, Co-fondateur et Directeur Général de GenSight Biologics. « *Nous avons toujours été et continuons d'être extrêmement reconnaissants de l'aide et des conseils que nous apportent les autorités européennes.* »

Une dernière étape avant la soumission effective, prévue dans le cadre des procédures de l'EMA, consistera pour GenSight Biologics à reconfirmer d'ici juillet son intention de soumettre en septembre.

Contacts

GenSight Biologics

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

NewCap

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

LifeSci Advisors

Relations Investisseurs
Guillaume van Renterghem
gvanrenterghem@lifesciadvisors.com
+33 (0)6 69 99 37 83

James Palmer

Investisseurs Particuliers
j.palmer@orpheonfinance.com
+33 (0)7 60 92 77 74

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, LUMEVOQ™ (GS010 ; lenadogene nolparvec), 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 l'œil.

À propos de LUMEVOQ™ (GS010 ; lenadogene nolparvec)

LUMEVOQ™ (GS010) 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*, 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 du Médicament (EMA) en octobre 2018.

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. La NOHL causerait la cécité visuelle chez environ 1 200 personnes par an aux Etats-Unis et en Europe.

À propos de RESCUE et REVERSE

RESCUE et REVERSE sont deux études distinctes 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 « *Logarithm 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 ayant reçu GS010 et présentant à l'inclusion la meilleure acuité visuelle initiale (« meilleur œil »), comparés à ceux ayant reçu la procédure *sham*, ainsi qu'aux yeux ayant reçu GS010 et présentant la moins bonne acuité visuelle initiale (« moins bon œil »), 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 de moins de 15 lettres ETDRS), 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 actuellement menées en parallèle, chez 37 patients pour REVERSE et 39 patients pour RESCUE, dans 7 centres aux États-Unis, au Royaume-Uni, en France, en Allemagne et en Italie. Les résultats à 96 semaines de suivi des deux études ont été publiés en 2019. Les patients ont ensuite été transférés vers une étude de suivi à long terme pour 3 années supplémentaires.

Identifiants ClinicalTrials.gov :

REVERSE : NCT02652780

RESCUE : NCT02652767

À propos de REALITY

REALITY est une étude observationnelle rétrospective et transversale multinationale de sujets atteints de NOHL, basée sur les dossiers médicaux et l'administration d'enquêtes sur la qualité de vie liée à la santé (HRQoL), ainsi que les coûts directs et indirects associés à la maladie.

L'étude vise à recruter au moins 50 sujets (adultes et pédiatriques) principalement dans les pays suivants : Espagne, Italie, France, Royaume-Uni et États-Unis.

Les principaux objectifs de l'étude REALITY sont les suivants : décrire l'évolution des changements fonctionnels et structurels visuels, ainsi que d'autres symptômes associés chez les patients atteints de NOHL ; comprendre l'impact de la perte de vision liée à la NOHL sur la HRQoL ; et comprendre les impacts économiques pour les patients et leurs familles découlant des coûts directs et indirects associés à la maladie. L'objectif secondaire est de décrire la relation entre les facteurs génétiques, de style de vie et / ou environnementaux et l'expression du phénotype NOHL.

Le premier sujet a été recruté le 3 janvier 2018, et le recrutement devrait prendre fin au début du second trimestre 2020.

ClinicalTrials.gov Identifiers:

REALITY LHON Registry: NCT03295071