

GenSight Biologics annonce l'octroi d'une Autorisation Temporaire d'Utilisation de Cohorte (ATUc) pour LUMEVOQ® en France

Paris, France, le 5 juillet 2021, 7h30 CEST – GenSight Biologics (Euronext: SIGHT, ISIN: FR0013183985, éligible PEA-PME), société biopharmaceutique dédiée au développement et à la commercialisation de thérapies géniques innovantes pour le traitement des maladies neurodégénératives de la rétine et du système nerveux centrale, annonce aujourd'hui que l'Agence Nationale de Sécurité du Médicament et des produits de santé (ANSM) a accordé une Autorisation Temporaire d'Utilisation de Cohorte (ATUc) pour LUMEVOQ® dans le traitement de la Neuropathie Optique Héritaire de Leber (NOHL) causée par un gène *ND4* muté.

L'accès précoce à LUMEVOQ® a d'abord été autorisé en France en décembre 2019 par l'ANSM qui a accordé une ATU Nominative (ATUn) au CHNO des Quinze-Vingts à Paris. A ce jour, 18 patients ont été traités sous ATUn dans ce même établissement de santé. Dans le cadre de l'ATUn, une demande individuelle est à adresser à l'ANSM pour chaque patient nommé désigné. L'ATU de Cohorte simplifie grandement le processus d'accès des patients à LUMEVOQ® avant l'Autorisation de Mise sur le Marché (AMM) européenne attendue au premier semestre 2022. Les médecins hospitaliers français, y compris ceux exerçant dans un autre établissement que l'hôpital des Quinze-Vingts à Paris, pourront désormais demander le traitement pour les patients éligibles directement à GenSight Biologics. L'ATUc permet également à la Société de suivre plus systématiquement les patients, et de recueillir des données qui permettront d'évaluer la tolérance et l'efficacité de LUMEVOQ® pour ces patients. Dans le cadre de l'ATUc, GenSight Biologics fournira LUMEVOQ® aux hôpitaux au même prix que l'ATUn en cours.

« La décision de l'ANSM d'autoriser le traitement par LUMEVOQ dans le cadre d'une ATU de Cohorte facilitera l'accès précoce au traitement pour les patients atteints de NOHL, et atteste en effet de la sécurité et de l'efficacité de LUMEVOQ, » commente **Bernard Gilly**, Co-fondateur et Directeur Général de GenSight. *« L'usage compassionnel et les programmes d'accès précoce déjà en place en Europe et aux États-Unis permettront également à GenSight de recueillir des données supplémentaires qui renforceront les preuves déjà impressionnantes sur le bénéfice clinique et le profil de tolérance de LUMEVOQ, et soutiendront notre demande d'Autorisation de Mise sur le Marché en Europe et en Amérique du Nord. »*

« L'obtention par GenSight de l'ATU de Cohorte souligne l'importance de plusieurs initiatives contenues dans le Plan Innovation Santé 2030 récemment annoncé par le Président de la République pour soutenir la croissance des startups innovantes dans le domaine de la santé », a ajouté Bernard Gilly.

La Neuropathie Optique Héritaire 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. Cette maladie touche principalement les adolescents et les jeunes adultes, induisant une perte brutale, soudaine et sans douleur de la vision centrale de manière irréversible. La NOHL entraînerait la cécité de 1 200 à 1 500 personnes par an aux États-Unis et en Europe. La mutation mitochondriale *ND4* est associée à la forme clinique la plus sévère de NOHL, avec une vision finale très faible.¹

Dans le cadre de l'ATU de Cohorte, LUMEVOQ® sera administré par injection intravitréenne bilatérale chez des patients atteints d'une perte de vision due à une NOHL causée par une mutation G11778A confirmée dans le gène mitochondrial *ND4*.

En France, les produits pharmaceutiques ne bénéficiant pas encore d'une Autorisation de Mise sur le Marché et ne faisant pas l'objet d'un essai clinique ne peuvent être utilisés que si l'ANSM accorde une ATU. Les ATU sont réservées aux produits dont l'efficacité et la sécurité sont « fortement présumées » sur la base des données d'essais cliniques, et dont l'indication thérapeutique cible une maladie grave, rare ou invalidante sans traitement adapté. Les produits sont innovants et l'établissement pharmaceutique doit s'engager à déposer une demande d'AMM dans un délai d'un an à compter de l'approbation de l'ATU de Cohorte.

Une ATU de Cohorte n'est accordée qu'après le dépôt d'une demande auprès de l'ANSM, précisant les critères et modalités de traitement des patients définis dans un Protocole d'Utilisation Thérapeutique (PUT). L'autorisation sera effective dès que l'Agence aura terminé son examen du PUT et des annexes soumises à l'appui de la demande. L'octroi d'une ATU de Cohorte précède généralement l'AMM.

Références :

1. Newman NJ, Carelli V, Taiel M, Yu-Wai-Man P. Visual outcomes in Leber hereditary optic neuropathy subjects with the m.11778G>A (MTND4) mitochondrial dna mutation. *J Neuroophthalmol.* (2020) 40:547–57. doi: 10.1097/WNO.0000000000001045.

Contacts

GenSight Biologics

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

Image 7

Communication et Relations Presse
Julia Friedlander-Most / Romain Grière
gensight@image7.fr
+33 (0)6 83 00 97 55 / +33 (0)7 86 53 17 29

LifeSci Advisors

Relations avec les Investisseurs
Guillaume van Renterghem
gvanrenterghem@lifesciadvisors.com
+41 (0)76 735 01 31

Orpheon Finance

Investisseurs Particuliers
James Palmer
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 au développement et à la commercialisation 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 nolparavec), a fait l'objet d'un dépôt de demande d'AMM en Europe pour le traitement de la neuropathie optique héréditaire de Leber (NOHL), une maladie mitochondriale rare affectant principalement les adolescents et les jeunes adultes et conduisant à une perte irréversible de la vue. 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 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 1 200-1 500 personnes par an aux Etats-Unis et en Europe.

À propos de LUMEVOQ® (GS010 ; lenadogene nolparvec)

LUMEVOQ® (GS010 ; lenadogene nolparvec) 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* à Paris, 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 des Médicaments (EMA) en octobre 2018.