

## GenSight Biologics tiendra des webcasts avec des leaders d'opinion sur les résultats de l'étude clinique de Phase III REFLECT de LUMEVOQ®

- Webcast KOL en anglais et français le vendredi 9 juillet 2021 // 14h-15h CEST
- Webcast dédié aux investisseurs particuliers le mercredi 7 juillet 2021 // 8h30-9h30 CEST

**Paris, France, le 5 juillet 2021, 18h00 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 central, annonce aujourd'hui qu'un webcast avec des leaders d'opinion (KOLs) se tiendra le **vendredi 9 juillet 2021 de 14h à 15h CEST (8h-9h EDT)**. Les KOLs **José-Alain Sahel, MD** (*University of Pittsburgh School of Medicine*) et **Robert Sergott, MD** (*Wills Eye Hospital, Philadelphia*) discuteront des résultats de l'étude clinique de Phase III REFLECT de LUMEVOQ® dans le traitement de la Neuropathie Optique Héréditaire de Leber (NOHL) publiés le 30 juin 2021. A l'issue du webcast, les Drs Sahel et Sergott seront rejoints par l'équipe de direction de GenSight pour répondre aux questions.

### **Vendredi 9 juillet 2021** (Webcast KOL)

14h-15h CEST

Webcast en direct en anglais : <https://bit.ly/3hetAk6>

Traduction simultanée en français : <https://bit.ly/3hetMzQ>

Numéro de la conférence téléphonique :

Paris : +33 (0) 1 7037 7166

*Indiquer que vous rejoignez la conférence GenSight Biologics, en anglais ou en français.*

Egalement, l'équipe de direction de GenSight tiendra un second webcast le **mercredi 7 juillet 2021 de 8h30 à 9h30 CEST** en français, et entièrement dédié aux investisseurs particuliers. Le Dr José-Alain Sahel y participera et sera disponible pour répondre aux questions.

### **Mercredi 7 juillet 2021** (investisseurs particuliers)

8h30-9h30 CEST

L'évènement sera retransmis en direct et en français à l'adresse : <https://bit.ly/36fQ9yO>.

Il est nécessaire de s'inscrire à l'avance pour accéder aux deux webcasts. Pour ceux qui ne pourront assister à la diffusion en direct, un enregistrement sera accessible en utilisant les mêmes liens.

## Contacts

### GenSight Biologics

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

### LifeSci Advisors

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

### Image 7

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

### Orpheon Finance

Investisseurs Particuliers  
James Palmer  
[j.palmer@orpheonfinance.com](mailto: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 nolparvovec), 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<sup>er</sup> œil, puis le 2<sup>nd</sup> 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 nolparvovec)

LUMEVOQ® (GS010 ; lenadogene nolparvovec) 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 nolparvovec) par l'Agence Européenne des Médicaments (EMA) en octobre 2018.

## À propos de REFLECT

REFLECT est une étude multicentrique, randomisée, en double aveugle, contrôlée versus placebo visant à évaluer l'efficacité et la tolérance des injections bilatérales de LUMEVOQ® (GS010 ; lenadogene nolparvovec) chez des sujets atteints par la NOHL en raison de la mutation NADH déshydrogénase 4 (*ND4*).

L'essai a inclus 98 sujets ayant commencé à perdre la vision depuis moins d'un an, et est mené dans plusieurs centres en Europe, aux États-Unis et à Taïwan.

Dans le bras actif, LUMVOQ® a été administré en une seule injection intravitréenne dans les deux yeux de chaque sujet. Dans le bras placebo, LUMVOQ® a été administré en une seule injection intravitréenne dans le premier œil affecté, tandis que l'autre œil a reçu une injection placebo.

Le critère d'évaluation principal de l'étude REFLECT est l'acuité visuelle (Best Corrected Visual Acuity ou BCVA) mesurée en LogMAR 1,5 an après le traitement du deuxième œil affecté / non encore affecté. La variation par rapport à la *baseline* dans les deuxièmes yeux affectés / non encore affectés recevant LUMVOQ® et le placebo est le critère principal d'évaluation. Les critères d'efficacité secondaires incluent : BCVA mesurée en LogMAR 2 ans après le traitement du deuxième œil affecté / non encore affecté par rapport au placebo et au premier œil affecté recevant LUMVOQ®, OCT, sensibilité aux contrastes et échelles de qualité de vie. Le premier patient a été traité en mars 2018, et le dernier en juillet 2019.

*Identifiants ClinicalTrials.gov :*  
REFLECT: NCT03293524