

## La MHRA accorde le statut de *Promising Innovative Medicine* au Royaume-Uni à la thérapie génique LUMEVOQ<sup>®</sup> de GenSight Biologics

**Paris, France, le 6 septembre 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 les maladies neurodégénératives de la rétine et du système nerveux central, annonce aujourd'hui que l'Agence du médicament britannique *Medicines and Healthcare products Regulatory Agency* (MHRA) a accordé le statut de *Promising Innovative Medicine* (PIM) à sa thérapie génique LUMEVOQ<sup>®</sup> pour le traitement de la perte de vision due à une Neuropathie Optique Héritaire de Leber (NOHL) causée par une mutation G11778A confirmée dans le gène mitochondrial *ND4*.

« *C'est une excellente nouvelle pour les personnes touchées par la NOHL au Royaume-Uni, qui disposent actuellement d'options de traitement très limitées* », commente **Bernard Gilly**, Co-fondateur et Directeur Général de GenSight Biologics. « *Cette reconnaissance marque une autre étape importante dans nos préparatifs en vue de mettre LUMEVOQ à la disposition des patients NOHL dès que possible.* »

Le statut PIM est attribué à un médicament susceptible d'offrir un bénéfice majeur aux patients. Pour que la MHRA accorde le statut PIM, le produit doit répondre à chacun des trois critères suivants :

- La condition doit être mortelle ou gravement invalidante avec un besoin non satisfait élevé, ce qui signifie qu'il n'y a pas de méthode de traitement, de diagnostic ou de prévention disponible, ou que les méthodes existantes ont de sérieuses limites
- Le médicament est susceptible d'offrir un bénéfice majeur par rapport aux méthodes actuellement utilisées au Royaume-Uni ; les preuves préliminaires doivent être soumises sur la base de données à la fois non cliniques et cliniques
- Les effets indésirables potentiels du médicament sont susceptibles d'être compensés par les bénéfices, ce qui permet d'envisager raisonnablement un rapport bénéfice-risque positif

Le statut PIM est également une indication précoce qu'un médicament est un candidat prometteur pour le programme d'accès précoce aux médicaments (*Early Access to Medicines Scheme*, ou EAMS) de la MHRA dans le traitement, le diagnostic ou la prévention de conditions potentiellement mortelles ou gravement débilitantes, avec un besoin non satisfait. L'EAMS est similaire au programme d'Autorisation Temporaire d'Utilisation de Cohorte (ATU de Cohorte, ou ATUc) en France, qui simplifie le processus par lequel les patients peuvent bénéficier de traitements prometteurs avant leur autorisation de mise sur le marché. LUMEVOQ<sup>®</sup> a été approuvé pour une ATU de Cohorte en France en juillet 2021.

La NOHL est une maladie génétique rare entraînant une perte sévère, brutale et irréversible de la vision, et qui touche principalement les adolescents et les jeunes adultes. La mutation *ND4* est la plus courante

et celle qui présente le pire pronostic visuel, la plupart des patients devenant légalement aveugles.<sup>1</sup> Les options de traitement pour la NOHL sont très limitées.<sup>2</sup>

LUMEVOQ® n'est pas encore approuvé en Europe ou au Royaume-Uni pour le traitement des patients présentant une perte de vision due à la Neuropathie Optique Héréditaire de Leber (NOHL). Sa demande d'Autorisation de Mise sur le Marché est actuellement en cours d'examen par l'Agence Européenne des Médicaments, avec une décision attendue au premier semestre 2022.

## 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

### 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

### LifeSci Advisors

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

### 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. 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. Développé dans le traitement de la neuropathie optique héréditaire de Leber (NOHL), le principal produit candidat de GenSight Biologics, LUMEVOQ® (GS010 ; lenadogene nolparavec), est actuellement en cours d'examen pour enregistrement en Europe, et en phase III préalablement au dépôt de la demande d'autorisation de mise sur le marché aux Etats-Unis (*Biologics License Application* [BLA]).

## 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 personnes par an aux Etats-Unis et en Europe.

## À propos de LUMEVOQ® (GS010)

LUMEVOQ® (GS010 ; lenadogene nolparavec) 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

<sup>1</sup> 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.

<sup>2</sup> Sundaramurthy, S., SelvaKumar, A., Ching, J., et al. Leber hereditary optic neuropathy—new insights and old challenges. *Graefes Arch. Clin. Exp. Ophthalmol.* (2020). doi:10.1007/s00417-020-04993-1.

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. LUMEVOQ® est actuellement en cours d'examen pour enregistrement en Europe, et en phase III préalablement au dépôt de la demande d'autorisation de mise sur le marché aux Etats-Unis (*Biologics License Application* [BLA]).

#### À propos du *Early Access to Medicines Scheme* (EAMS)

Le programme d'accès précoce aux médicaments (*Early Access to Medicines Scheme*, ou EAMS) au Royaume-Uni vise à rendre accessible plus rapidement de nouveaux médicaments prometteurs sans Autorisation de Mise sur le Marché (AMM) aux patients britanniques présentant un besoin clinique élevé non satisfait. Le statut de *Promising Innovative Medicine* (PIM) est une indication précoce qu'un médicament est un candidat potentiel pour le programme EAMS. Cependant, le statut PIM ne doit pas être considéré comme un engagement futur de la MHRA à autoriser un tel médicament.