

GenSight Biologics Retire sa Demande d'Autorisation de Mise sur le Marché Européenne de LUMEVOQ®

Paris, France, le jeudi 20 avril 2023, 16h00 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 le Comité des Médicaments de Thérapies Innovantes (*Committee for Advanced Therapies* ou CAT¹) du Comité des Médicaments à Usage Humain (*Committee for Medicinal Products for Human Use* ou CHMP) de l'Agence européenne des médicaments (EMA) a évalué les données présentées lors de l'explication orale² du dossier réglementaire européen de LUMEVOQ®.

Comme le prévoit la procédure d'examen et suite aux réponses aux questions à D180, une explication orale a eu lieu le 19 avril. GenSight a invité des experts de la NOHL³ de renommée mondiale, le Dr Patrick Yu-Wai-Man, PhD (Université de Cambridge, Royaume-Uni) et le Dr José-Alain Sahel (École de médecine de l'Université de Pittsburgh, États-Unis), à partager leur pratique clinique et leur point de vue sur les données de LUMEVOQ®.

Suite aux interactions avec le CAT indiquant que les données fournies jusqu'à présent ne seraient pas suffisantes pour soutenir une opinion positive sur l'autorisation de mise sur le marché de LUMEVOQ® par l'EMA, GenSight a décidé de retirer sa demande avant l'obtention de l'opinion finale du CAT. Cette décision permet à la société d'engager des discussions avec l'EMA sur la meilleure voie possible pour LUMEVOQ® dans les semaines à venir, le but étant de soumettre une nouvelle demande en Europe et dans d'autres pays répondant aux objections restantes dès que possible. La Société étudie les options possibles, y compris la production de nouvelles données cliniques, ce qui peut induire des délais importants et des coûts additionnels.

« Les équipes de GenSight ont rassemblé un vaste ensemble de données sur 252 patients atteints de ND4-NOHL et traités par LUMEVOQ, montrant que 70 % des patients traités présentent une récupération visuelle, contrairement à la récupération faible et limitée observée dans l'histoire naturelle de la maladie », a déclaré José-Alain Sahel, Co-fondateur de GenSight Biologics et de l'Institut de la Vision, Paris, France. « À la lumière des résultats de l'étude, confirmés par les données de vie réelle, LUMEVOQ est actuellement la meilleure option thérapeutique pour les patients atteints de ND4-NOHL, étant donné la différence 3 fois supérieure de la fonction visuelle chez les patients traités. Il est décevant que l'effet controlatéral du traitement ait limité la force perçue de ces données, publiées dans des revues à comité de lecture de premier plan par des leaders dans le domaine. »

¹ Le Comité des thérapies innovantes (CAT) est le comité de l'Agence européenne des médicaments (EMA) chargé d'évaluer la qualité, la sécurité et l'efficacité des médicaments de thérapie innovante (MTI) et de suivre les développements scientifiques dans ce domaine.

² Après le deuxième « clock-stop », une explication orale dans laquelle le demandeur s'adresse directement au comité peut être demandée soit par le demandeur, soit par le CHMP - <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/marketing-authorisation/evaluation-medicines-step-step#clock-stop-2-section>

³ Neuropathie Optique Héritaire de Leber (NOHL) et ND4 dont la mutation la plus fréquente avec le pronostic le plus grave pour les patients NOHL.

« Nous désapprouvons l'évaluation actuelle du CAT, et restons très confiants dans le bénéfice clinique de LUMEVOQ pour les patients atteints de NOHL, qui sont étayés par de nombreuses preuves issues de multiples essais cliniques et de vie réelle », a commenté **Bernard Gilly**, Directeur Général et Co-fondateur de GenSight Biologics. « La décision de retirer notre demande nous permet de continuer à travailler avec l'EMA afin de convenir dès que possible d'une voie réglementaire à suivre. Je tiens à remercier les communautés de patients pour leur soutien et à réaffirmer notre détermination à apporter cette thérapie innovante aux patients atteints de ND4-LHON qui ont besoin d'un traitement efficace. Je tiens également à remercier la communauté scientifique et nos équipes pour leur engagement durable. »

GenSight confirme que la campagne de validation est en bonne voie avec son partenaire aux États-Unis, comme prévu, avec un produit libéré pour l'usage humain d'ici la fin d'année.

La demande d'autorisation de mise sur le marché (AMM) de GenSight pour LUMEVOQ® auprès de l'EMA était basée sur la balance bénéfice-risque établie par les résultats chez 252 patients traités dans le cadre d'essais cliniques ou d'une utilisation compassionnelle. Cet ensemble de données sans précédent pour la ND4-NOHL établit que l'efficacité de LUMEVOQ® est supérieure à l'histoire naturelle et à idebenone.

L'équipe de direction de GenSight tiendra aujourd'hui un webcast en direct à 16h30 CEST (10h30 EST) pour commenter cette décision. Le webcast se déroulera en anglais, et une traduction simultanée en français sera également disponible.

Lien vers le webcast : <https://bit.ly/3LcxrMD>

La retransmission sera disponible en différé en utilisant le même lien ci-dessus.

La société présentera sa situation de trésorerie au 31 mars 2023 dans un communiqué de presse distinct plus tard dans la journée.

Contacts

GenSight Biologics

Directrice Communication Corporate
Clothilde Caillet
ccaillet@gensight-biologics.com

Taddeo

Communication et Relations Presse
Julia Friedlander-Most
julia.friedlander@taddeo.fr
+33 (0)6 83 00 97 55

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. 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. Développé dans le traitement de la neuropathie optique héréditaire de Leber (NOHL), le principal produit candidat de GenSight Biologics, LUMEVOQ® (GS010 ; lenadogene nolparavec), est 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 États-

Unis (*Biologics License Application* [BLA]). LUMEVOQ® (GS010 ; lenadogene nolparvec), n'a été enregistré dans aucun pays à ce stade.

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. LUMEVOQ® (GS010 ; lenadogene nolparvec), n'a été enregistré dans aucun pays à ce stade.