

GenSight Biologics annonce les résultats complémentaires prometteurs de son étude de phase I/II avec GS010 pour le traitement de la Neuropathie Optique Héréditaire de Leber (NOHL)

- **Confirmation du bon profil de sécurité et de tolérance de GS010**
- **Amélioration de l'acuité visuelle chez les patients diagnostiqués depuis moins de 2 ans**

Paris, France, le 8 juin 2016 – GenSight Biologics, 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 les résultats complémentaires prometteurs de son étude de phase I/II visant à démontrer la sécurité et la tolérance de GS010 chez 15 patients atteints de la neuropathie optique héréditaire de Leber (NOHL).

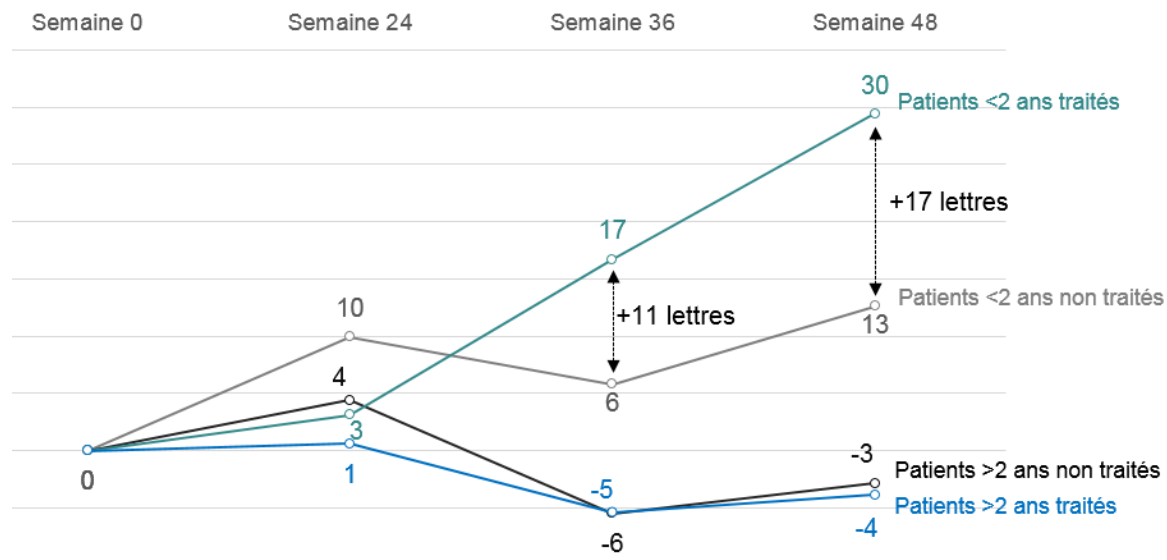
Chaque groupe de trois patients a reçu une dose croissante de GS010 par injection intra vitréenne unique dans l'œil le plus sévèrement atteint par la pathologie. Le recrutement s'est achevé en avril 2015. Ces patients avaient perdu la vue en moyenne depuis 6 ans.

48 semaines après l'injection, chez les patients ayant développé la maladie depuis moins de 2 ans, on observe un gain de + 30 lettres (-0.59 LogMAR) dans l'œil traité et de +13 lettres (-0.25 LogMAR) dans l'œil non traité, soit une différence de +17 lettres en faveur de l'œil traité. Aucune différence notable n'a été observée chez les patients diagnostiqués depuis plus de deux ans.

Variation moyenne de l'acuité visuelle en équivalent Lettre ETDRS (LogMAR) de la baseline à 48 semaines	Œil traité (TE) Variation moyenne (LogMAR)	Œil non traité (UTE) Variation moyenne (LogMAR)	Résultats en acuité visuelle TE vs UTE
Patients atteints de la maladie depuis ≤ 2 ans (n=5)*	+30 lettres (-0,59)	+13 lettres (-0,25)	+17 lettres (-0.338 LogMAR)
Patients atteints de la maladie >2 ans (n=7)	- 4 lettres (0,08)	-3 lettres (0,06)	Aucune différence

Note () : Excluent les patients « hand motion » (mouvements de la main entre 30cm et 1m), conformément au protocole de Phase III
Source : Société*

L'effet combiné de la dose et de la précocité de la perte d'acuité visuelle est notable à partir de 36 semaines et perdue à 48 semaines.



Source : Société

Évolution de l'acuité visuelle de l'œil traité vs œil non traité (en nombre équivalent de lettres lues)

Bernard Gilly, Directeur Général et Co-fondateur de GenSight, commente : « Ces données préliminaires sont extrêmement encourageantes et valident le design des deux études de phase III actuellement en cours aux États-Unis et en Europe sur GS010 pour le traitement de la neuropathie héréditaire de Leber, maladie neurodégénérative de la rétine, et plus spécifiquement du nerf optique. Par ailleurs, ces résultats confortent le potentiel de notre plateforme technologique de ciblage des mitochondries (MTS) et ouvrent la perspective d'applications à d'autres pathologies d'origine mitochondriale dans et hors du champ des indications ophtalmiques. »

GS010 cible la neuropathie optique héréditaire de Leber (NOHL), 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. GS010 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.

Dr Catherine Vignal, investigateur de l'étude, médecin Chef de service d'ophtalmologie à la Fondation Ophtalmologique A. de Rothschild, ajoute : « Ces résultats préliminaires à 48 semaines constituent un espoir important pour les patients atteints de NOHL, une maladie très sévère pour laquelle aucun traitement curatif n'existe à ce jour. »

GenSight Biologics a démarré deux études cliniques (Rescue and Reverse) de phase III en Europe et aux États-Unis pour évaluer l'efficacité de GS010 chez des sujets atteints de la NOHL induite par la mutation ND4, et ayant subi une perte d'acuité visuelle depuis moins d'un an. Les premiers résultats à 48 semaines de suivi sont attendus fin 2017.

Contacts

GenSight Biologics

Thomas Gidoïn
 Directeur Administratif et Financier
tgidoïn@gensight-biologics.com
 06 01 36 35 43

NewCap

Relations Médias
 Annie-Florence Loyer
afloyer@newcap.fr
 01 44 71 94 93

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, GS010, 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 conçus pour être administrés en un seul traitement dans chaque œil par injection intravitréenne visant à offrir aux patients une récupération visuelle fonctionnelle durable.