Paris, France, le 28 septembre 2020, 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 central, annonce aujourd'hui la récente publication d'une nouvelle méta-analyse de l'histoire naturelle de la neuropathie optique héréditaire de Leber (NOHL) dans l'édition de septembre 2020 du Journal of Neuro-Ophthalmology, la revue officiel le de la société savante NANOS

(
North
American Neuro-
Ophthalmology
Society
)
.

L'article*, rédigé par des spécialistes mondiaux de la NOHL, confirme le faible taux de récupération visuelle spontanée chez les
patients
porteurs
d
'
un
gène
N
D
4
muté
,
la
mutation la
plus couramment associée à la maladie
.
Seul
s
11,3% des patients âgés de 15 ans et plus au moment de la perte de vision ont présenté un degré de
récupération visuelle.

La NOHL est une maladie rare, héréditaire, provoquant une cécité bilatérale, qui touche en priorité des personnes jeune
s
en bonne santé, principalement

de sexe masculin
.
Entre
800
et
1
.
200
nouveaux
patients
développe
nt
une NOHL
chaque année aux
É
tats-Unis et
dans l
'
Union Européenne
.
Les
cliniciens
qui prennent en charge l
es patients atteints de
NOHL
s
'
accordent
depuis longtemps
sur le fait qu
'
il
est rare que les
patients
récupèrent leur
vision
,
une fois la maladie déclarée. Cependant
,
même après des décennies de pratique clinique
,
il
leur est
difficile d
'
estimer le taux de récupération

spontanée
,
étant donné le
faible
nombre de
patients
qu
'
ils voient personnellement
.
Cette estimation
est rendu
e
plus compliqué
e
par le fait que le pronostic varie en fonction des
mutations
en cause
.
Les patients porteurs de la
mutation
la plus courante
,
celle du gène
ND4
,
sont généralement considérés comme ayant le pronostic le plus
défavorable
.

L'article publié dans la revue Journal of Neuro-Ophthalmology, intitulé « Visual Outcomes in L
eber
Hereditary
Optic
Neuropathy
Patients
with
the m.11778G>A (MTND4) Mitochondrial DNA Mutation
» [Résultats visuels chez des patients atteints de

neuropathie optique héréditaire de Leber et porteurs de la mutation de l
'
ADN mitochondrial
m.11778G>A (MTND4)]
,
a
résolu
le problème
du
faible
nombre de patient
s
en réalisant une
m
é
ta-analys
e
de
12
études rétrospectives
et
3
études
prospective
s
,
identifiées
après une vaste
revue
de la
littérature scientifique
et
médicale
.
Les patients traités par
idebenone
n
'
ont pas été exclus de l
'
échantillon.
Cette approche a permis
aux auteurs
d
'
analyser l

'
évolution de la fonction visuelle de
695
patients
porteurs
d
'
un gène
ND4
muté
.

« Plusieurs études publiées ont tenté d'estimer le taux de récupération spontanée dans la NOHL , mais il était difficile de trouver un taux global pour la mutation la plus fréquemment en cause
,
en raison
des différences
dans
les approches et les échantillons utilisés
dans ces études
,
»
explique
le
Dr
Magali
Taiel
,
Directeur
M
édical
de
GenSight
Biologics
et co-auteur de l
'
article

.
«
La
p
ublication
propose une revue complète et exhaustive de la littérature et
apporte
un éclairage
essentiel
à notre
connaissance de
la maladie
.
»

Le taux de récupération spontanée estimé dans l'article apporte un éclairage important sur l'a
mélioration
bilatérale
observ
ée
dans les études pivots
RESCUE
et
REVERSE
du
produit
principal
de
GenSight
Biologics
, LUMEVOQ
®
,
une thérapie génique pour la NOHL
due à
un gène
ND4
muté
.

Dans ces études
,
le taux d
'
amélioration cliniquement significative
comparé au
nadir
d
'
au moins
0
,
3
LogMAR
,
soit
au moins
3
lignes
de lettres ETDRS
sur l
'
optotype
de
Snellen
,
était de
76
%
dans l
'
étude
REVERSE
et
71
%
dans l
'
étude
RESCUE.

« En réaffirmant le fait que la récupération spontanée chez les patients atteints de NOHL est rare, cette nouvelle méta-analyse vient une nouvelle fois renforcer l e dossier de LUMEVOQ ® . » déclare Bernard Gilly , Co-fondateur et Directeur Général de GenSight Biologics . « Nous continuons à travailler avec les autorités pour apporter un nouveau traitement aux patient s atteints de NOHL . »

Sur la base de l'efficacité et de la sécurité démontrées par les études pivots, les données cliniques et non-cliniques additionnelles et une comparaison indirecte à l ' histoire naturelle , la demande d ' Autorisation de Mise sur le Marché (AMM) de LUMEVOQ ® a été

déposée auprès des autorités européennes en septembre
2020.

*A propos de l'article :

Visual Outcomes in Leber Hereditary Optic Neuropathy Patients with the m.11778G>A (MTND4) Mitochondrial DNA Mutation

[Résultats visuels chez des patients atteints de neuropathie optique héréditaire de Leber et porteurs de la mutation de l'ADN mitochondrial m.11778G>A (MTND4)]

Titre abrégé : Visual Function in m.11778G>A LHON Patients

[Fonction visuelle chez des patients atteints de NOHL et porteurs de la mutation m.11778G>A]

Auteurs : Nancy J Newman, MD1, Valerio Carelli, MD, PhD2,3, Magali Taiel, MD4, Patrick Yu-Wai-Man, MD, PhD
5,6,7,8

Affiliations :

1 Départements d'ophtalmologie, de neurologie et de chirurgie neurologique, Faculté de Médecine de l'Un
iversité
Emory
, Atlanta,
Géorgie,
É
tats-Unis
.

2 IRCCS (Institut des sciences neurologiques de Bologne), Unité de chirurgie neurologique clin
ique
, Bologn
e
, Ital
ie

3 Unité de neurologie, Département des sciences biomédicales et neuro-motrices (DIBINEM), Universit é de
Bologne
,
Bologne
, Ital
ie

4 GenSight Biologics, Paris, France.

5Cambridge Centre for Brain Repair and MRC Mitochondrial Biology Unit, Département des neurosciences cliniques
,
Université
de
Cambridge, Cambridge,
Royaume-Uni
.

6Cambridge Eye Unit, Addenbrooke's Hospital, Université de Cambridge, Cambridge, Royaume-Uni .

7Moorfields Eye Hospital, Londres, Royaume-Uni.

8UCL Institute of Ophthalmology, University College London, Londres, Royaume-Uni.

Dr. Newman, Dr. Carelli et Dr. Yu-Wai-Man sont aussi des investigateurs principaux des études RESCUE
et
REVERSE.

Résumé disponible en ligne :

https://journals.lww.com/jneuro-ophthalmology/Abstract/9000/Visual_Outcomes_in_Leber_Hereditary_Optic.98886.aspx