

Paris, France, le 13 janvier 2021, 7h30 CET - 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 que l

e

journal

de

|

,

American

Academy

of Ophthalmology

,

Ophthalmology

®

,

vient de publier les résultats de

RESCUE

,

|

,

essai clinique pivot de phase

III de

la

thérapie génique LUMEVOQ

®

chez des patients atteints de

neuropathie optique héréditaire de Leber

ND4

(NOHL).

Cette publication

\*

, parue dans le numéro de

janvier

sous le titre «

Efficacy

and

safety

of  
intravitreal  
gene  
therapy  
for Leber  
hereditary  
optic  
neuropathy  
treated  
within  
6  
months  
of  
disease  
onset  
»  
est le  
second  
article  
publié dans une revue scientifique à comité de lecture  
documentant  
,  
à partir de données  
cliniques  
de phase  
III  
,  
une amélioration bilatérale de l  
,  
acuité visuelle  
après  
une injection unilatérale de thérapie génique.

« L'amélioration des deux yeux par rapport au nadir est convaincante, et ne correspond en rien  
à ce que nous  
connaissons  
de l'histoire naturelle de cette maladie

Écrit par GenSight Biologics

Samedi, 16 Janvier 2021 13:48 - Mis à jour Samedi, 16 Janvier 2021 14:07

---

», déclare le

Dr

Nancy J. Newman

,

pr

emier

auteur de l

,

article

,

investigateur principal de l

,

essai

R

ESCUE

,

et

Professeur d

,

Ophtalmologie et de Neurologie

LeoDelle

Jolley

,

Emory

University

School

of

Medicine

, Atlanta, Géorgie, Etats-Unis

.

« L'étude confirme le bénéfice clinique en préservant les cellules ganglionnaires de la rétine et les fibres du nerf optique grâce à la technologie de thérapie génique MTS (Mitochondrial

Targeting

Sequence

)

»,

déclare

le

Pr

José-Alain Sahel

,

co-auteur de l

,

Écrit par GenSight Biologics

Samedi, 16 Janvier 2021 13:48 - Mis à jour Samedi, 16 Janvier 2021 14:07

---

article

,

c

o-fondateur de GenSight

Biologics

,

Directeur de l

,

Institut de la

Vision

(Sorbonne-Université/Inserm/CNRS)

à Paris

, où a été développée la technologie

initiale

de ciblage mitochondrial

d

u

LUMEVOQ

®

.

«

De nombreuses

maladies mitochondriales pourraient être adressées

efficacement

, comme le démontre cette étude pivotale.

»

, ajout

e

le

P

r

Sahel

, qui

dirige

également

le Département d

,

Ophtalmologie du Centre Hospitalier National d

,

Ophtalmologie des

Quinze

-

Vingts

,

à

Paris

Écrit par GenSight Biologics

Samedi, 16 Janvier 2021 13:48 - Mis à jour Samedi, 16 Janvier 2021 14:07

---

;  
et  
est Professeur et Directeur du Département d  
,  
Ophtalmologie de l  
,  
É  
cole de Médecine de l  
,  
Université de Pittsburgh et de l  
,  
UPMC (University  
of Pittsburgh  
Medical  
Center)  
aux  
É  
tats-Unis  
.

Les résultats de l'essai RESCUE sont des éléments essentiels du corpus de données soumis  
par GenSight Biologics en septembre 2020 à l'Agence Europ  
éenne du  
M  
édicament pour étayer sa demande d  
,  
autorisation de mise sur le marché de LUMEVOQ  
®  
dans le traitement de  
s patients avec  
une  
perte d  
e vision  
secondaire à une  
NOHL  
causée par une  
mutation confirmée du gène mitochondrial  
ND4

Écrit par GenSight Biologics

Samedi, 16 Janvier 2021 13:48 - Mis à jour Samedi, 16 Janvier 2021 14:07

---

. L  
,

Agence devrait rendre sa décision au quatrième trimestre 2021.

Dans l'intervalle, les résultats d'une 3ème étude de Phase III, REFLECT, sont attendus au 2nd trimestre 2021.

## Résultats de l'essai RESCUE

39 sujets atteints de NOHL ND4, dont la perte d'acuité visuelle s'était déclarée depuis moins de six

mois

dans au moins un

oe

il, et depuis moins de 6 mois dans les deux yeux

au moment de

leur recrutement, ont participé à l

,

essai RE

SCUE

Comme dans l

essai REVERSE, un

œ

il a reçu une injection intravitréenne de la thérapie génique

LUMEVOQ

®

, et l

autre

œ

il une injection simulée (

sham

). Les sujets ont été suivis 96 semaines après leur injection, et les principaux résultats ont été communiqués

en 2019.

L'analyse de l'efficacité sur 38 sujets<sup>1</sup> montre que l'acuité visuelle a évolué selon des trajectoires parallèles

dans

les yeux traités par LUMEVOQ

®

et

les yeux

sham

, se détériorant

d

abord jusqu

aux pires niveaux à la semaine 24,

avant de se stabiliser

jusqu'à la semaine 48,

et de s

améliorer enfin

jusqu'à la semaine 96.

À

Écrit par GenSight Biologics

Samedi, 16 Janvier 2021 13:48 - Mis à jour Samedi, 16 Janvier 2021 14:07

---

la semaine 96, la variation moyenne par rapport

à l

,

acuité visuelle la plus basse enregistrée

, ou nadir, était de -0,53 LogMAR (+26 lettres ETDRS) dans les yeux traités par LUMEVOQ

®

et de -0,46 LogMAR (+23 lettres ETDRS)

dans les yeux non traités (

sham

)

. Cette amélioration était statistiquement significative dans les deux groupes

d

,

yeux

(p