

Écrit par GenSight Biologics

Lundi, 29 Février 2016 16:37 - Mis à jour Lundi, 29 Février 2016 16:42



Paris, France, 29 Février 2016 - GenSight Biologics S.A. (GenSight), société biopharmaceutique dédiée à la découverte et au développement de thérapies géniques innovantes pour le traitement des maladies neurodégénératives de la rétine, et à l'avenir, du système nerveux central, annonce aujourd'hui le recrutement du premier patient dans RESCUE et REVERSE, deux études pivotales de Phase III de son principal candidat médicament GS010 dans le traitement de la Neuropathie Optique Héritaire de Leber (NOHL).

Bernard Gilly, PhD, Président-directeur général de GenSight, a commenté : "Avec le premier patient recruté, nous entrons dans la dernière étape du développement de GS010, qui, nous l'espérons, démontrera sa capacité à stopper durablement, voire à restaurer la perte brutale de vision causée par la NOHL

Écrit par GenSight Biologics

Lundi, 29 Février 2016 16:37 - Mis à jour Lundi, 29 Février 2016 16:42

.
GenSight
poursuit
sa stratégie
en développant
des approches innovantes
contre les maladies
cécitantes

.
"

RESCUE et REVERSE sont conçues pour déterminer si GS010 peut stopper ou restaurer la
perte d'acuité visuelle associée à la NOHL induite par la mutation
du gène
NADH dé
s
hydrogénase 4 (ND4)
, ou agir comme prophylaxie dans la perte d'acuité visuelle d'un œil non encore affecté.
Les études v
isent
également à identifier la fenêtre d'opportunité thérapeutique
dès les premiers signes de perte de vision

.

Une intervention précoce étant potentiellement un facteur clé pour optimiser le succès
thérapeutique, les deux études cliniques
seront menées
sur des patients présentant une perte d'acuité visuelle depuis moins d'un an

.

RESCUE devrait inclure 36 patients présentant une perte d'acuité visuelle inférieure ou égale
à 6 mois, et REVERSE devrait inclure 36 patients présentant une perte d'acuité visuelle
comprise entre 7 et 12 mois.

Écrit par GenSight Biologics

Lundi, 29 Février 2016 16:37 - Mis à jour Lundi, 29 Février 2016 16:42

Une unique injection intravitréenne de GS010 sera administrée dans un œil de chacun des sujets, quand l'œil opposé recevra une injection simulée (sham).

À l'issue d'une période de 48 semaines, les patients bénéficieront d'un suivi d'au moins 3 ans

, afin de déterminer la durabilité de l'efficacité, ainsi que la bonne tolérance à long terme du traitement.

Dr. Alfredo A. Sadun, MD, PhD, Doheny Eye Institute, UCLA Department of Ophthalmology, Pasadena

, California (USA),

a déclaré :

"

Après

trois

décennies

de recherche

, je suis

ravi

Écrit par GenSight Biologics

Lundi, 29 Février 2016 16:37 - Mis à jour Lundi, 29 Février 2016 16:42

car il semble que nous atteignons le moment où nous allons pouvoir offrir un traitement potentiellement efficace de la NOHL

.
Nous avons désormais de bonnes raisons d'espérer une solution thérapeutique à cette terrible cause de cécité héréditaire bilatérale chez les jeunes adultes

:"

Pr. José-Alain Sahel, MD, PhD, Directeur de l'Institut de la Vision, Paris, Chef du service d'ophtalmologie au Centre Hospitalier National d'Ophtalmologie des XV-XX, Paris, et co-fondateur de GenSight a ajouté

:"

Nous sommes impatients de commencer le recrutement de patients européens dès les prochaines semaines

,
dans cette première étude d'efficacité jamais menée dans la NOHL
."

Écrit par GenSight Biologics

Lundi, 29 Février 2016 16:37 - Mis à jour Lundi, 29 Février 2016 16:42

Le premier patient du programme global a été injecté au Doheny Eye Institute, UCLA Department of Ophthalmology, Pasadena, California (USA) dans le cadre de l'étude REVERSE

,
et le premier patient de l'étude RESCUE a été injecté au Wills Eye Hospital, Philadelphia, Pennsylvania (USA).

Les études seront menées en parallèle dans 7 centres aux Etats-Unis, au Royaume-Uni, en France, en Allemagne et en Italie.

Les centres en Europe ouvriront dans les prochaines semaines

,
sous réserve d'autorisation des agences réglementaires locales.

Les premiers résultats à 48 semaines de suivi sont attendus fin 2017.

Plus d'informations

A propos de RESCUE et REVERSE

RESCUE et REVERSE sont deux études distinctes pivotales de Phase III randomisées, en double aveugle, contrôlées par injection simulée (sham), conçues pour évaluer l'efficacité d'une injection intravitréenne unique de GS010 (rAAV2/2-ND4) chez des sujets atteints de la NOHL induite par la mutation G11778A ND4.

Le critère d'évaluation principal mesurera la différence d'efficacité de GS010 entre les yeux traités et les yeux non-traités (sham), sur la base de l'acuité visuelle (

Écrit par GenSight Biologics

Lundi, 29 Février 2016 16:37 - Mis à jour Lundi, 29 Février 2016 16:42

Best

Corrected

Visual

Acuity

ou

BCVA),

mesurée à l'aide de l'échelle ETDRS à 48 semaines après injection

.

Les scores

«

Log of the Minimal Angle of

Resolution

»

des patients

,

ou

LogMAR

,

qui sont dérivés

du nombre de lettres lues sur l'échelle ETDRS, seront utilisés à des fins statistiques.

Les deux études ont été conçues pour évaluer une diff

é

rence statistiquement significative d'au moins 15 lettres ETDRS entre les yeux traités et non-traités

(

sham

), ajustés de

l'acuité visuelle initiale (

baseline

)

.

Les critères d'évaluation secondaires incluront l'application de l'analyse principale aux yeux présentant

à

l'inclusion

la me

lleure acuité visuelle initiale (

«

meilleur œil

Écrit par GenSight Biologics

Lundi, 29 Février 2016 16:37 - Mis à jour Lundi, 29 Février 2016 16:42

»
)
ayant reçu GS010 comparés à ceux ayant reçu la proc
é
dure
sham

,
ainsi qu'
aux yeux présentant la
moins bonne acuité visuelle initiale (
«
moins bon
œil

»
)
ayant reçu GS010 comparés à ceux ayant reçu la proc
é
dure
sham

.
Egalement, une évaluation
de la proportion de patients

«
répondeurs

»
sera réalisée, incluant notamment
le pourcentage
de patients qui maintiennent leur acuité visuelle
(
perte
) ,
le pourcentage
de patients qui améliorent leur acuité visuelle de 15 lettres ETDRS
ou plus
, ainsi que
le pourcentage
de patients présentant une acuité
visuelle finale
>20/200
, ou 1/10

.
Les paramètres visuels mesurés incluront également les champs visuels automatisés, la
tomographie par coh

é
rence optique,
ainsi que la sensibilité aux couleurs et aux contrastes, en plus des mesures de qualité de vie,

Écrit par GenSight Biologics

Lundi, 29 Février 2016 16:37 - Mis à jour Lundi, 29 Février 2016 16:42

de bio-dissémination, et de réponse immunitaire
post-injection

.

Identifiants ClinicalTrials.gov :

REVERSE: NCT02652780

RESCUE: NCT02652767

A propos de la neuropathie optique héréditaire de Leber (NOHL)

La NOHL est une maladie génétique de transmission maternelle provoquant une perte irréversible et sévère de la vision jusqu'à la c

éc

ité totale chez les adolescents et les jeunes adultes. La

NOHL

affecte la capacité des patients à effectuer des t

à

ches de la vie quotidienne, limitant grandement leur autonomie, et en particulier la lecture, la conduite ou simplement reconnaître des visages. La qualité de vie des patients atteints de

NOHL

est de manière générale très pauvre. La

NOHL

causerait la cécité visuelle chez environ 1

400 à 1

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

La NOHL a pour origine des mutations de gènes mitochondriaux codant pour des protéines appelées NADH déshydrogénase. Ces protéines font partie d'un large complexe enzymatique nécessaire à la production d'adénosine triphosphate (ATP), qui constitue la principale source d'énergie d'une cellule. Trois gènes différents codant pour quatre NADH déshydrogénase ont été reliés à la NOHL et sont considérés comme étant les principales mutations à l'origine de la maladie. La mutation ND4 représente 75% d'entre elles.

A propos de GenSight Biologics

GenSight Biologics S.A. (GenSight) 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 à l'avenir, du système nerveux central. Le portefeuille de recherche de GenSight s'appuie sur deux plates-formes technologiques propriétaires

Écrit par GenSight Biologics

Lundi, 29 Février 2016 16:37 - Mis à jour Lundi, 29 Février 2016 16:42

: la

s

équence de

c

iblage

m

itochondrial (M

itochondrial

Targeting

Sequence

, ou M

TS) et l'

optogénétique

, visant à préserver ou restaurer la vision chez les patients atteints de maladies

neurodégénératives

de la rétine

.

Le produit principal de

GenSight

, GS010, est

en

phase III pivot 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

sont conçus pour être administrés en un seul traitement dans chaque œil par injection

int

ravitréeenne

visant à offrir aux patients une guérison fonctionnelle durable, potentiellement pour le reste de

leur vie.