

Écrit par GenSight

Jeudi, 08 Septembre 2016 20:29 - Mis à jour Jeudi, 08 Septembre 2016 20:32

---



Paris, 8 septembre 2016 - GenSight Biologics (Euronext : SIGHT, FR0013183985, éligible PEA-PME), 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 que les autorités réglementaires et les comités d'éthique aux Etats-Unis, en France et au Royaume-Uni, ont autorisé un amendement au protocole visant à inclure des adolescents (15-18 ans) dans RESCUE et REVERSE, deux études cliniques de Phase III avec GS010 dans le traitement de la Neuropathie Optique Héréditaire de Leber (NOHL).

L'Investigational New Drug Application (IND) avait été acceptée par la FDA (U.S. Food and Drug Administration) en août 2015, et les Clinical Trial Applications (CTAs) avaient, elles, été acceptées en France, Allemagne, Italie, ainsi qu'au Royaume-Uni par les agences nationales au cours du premier semestre 2016, permettant à GenSight Biologics d'initier les deux études cliniques de Phase III aux Etats-Unis et en Europe. Les protocoles initiaux prévoyaient de recruter des patients adultes, cet amendement autorisant désormais l'inclusion de patients dès l'âge de 15 ans.

Écrit par GenSight

Jeudi, 08 Septembre 2016 20:29 - Mis à jour Jeudi, 08 Septembre 2016 20:32

---

Bernard Gilly, Directeur Général de GenSight Biologics, a commenté "Etant donné la brutalité de la perte de vision et la nature neurodégén

é  
rative de la maladie, nous sommes particulièrement ravis de pouvoir considérer tous les patients quel que soit leur âge."

"Si l'on considère que les adolescents atteints de NOHL développent la maladie de manière similaire aux adultes, mais également le bon profil de tolérance et le bénéfice potentiel du traitement, il est extrêmement important de pouvoir inclure ces adolescents," a également commenté

Pr.

Nancy J. Newman, MD

, directeur du Département de Neuro-Ophtalmologie,

Emory

University

School

of

Medicine

, Atlanta, Géorgie (USA).

Les données épidémiologiques disponibles suggèrent que les adolescents (15-18 ans) pourraient représenter entre 14 et 22% de tous les patients NOHL (toutes mutations confondues).

Écrit par GenSight

Jeudi, 08 Septembre 2016 20:29 - Mis à jour Jeudi, 08 Septembre 2016 20:32

---

## 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 destinés à offrir aux patients une récupération visuelle fonctionnelle durable après une

seule injection

intravitréenne

dans chaque œil.

## À 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

Écrit par GenSight

Jeudi, 08 Septembre 2016 20:29 - Mis à jour Jeudi, 08 Septembre 2016 20:32

---

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 (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 différence 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 meilleure acuité visuelle initiale (« meilleur œil ») ayant reçu GS010 comparés à ceux ayant reçu la procédure sham, ainsi qu'aux yeux présentant la moins bonne acuité visuelle initiale (« moins bon œil ») ayant reçu GS010 comparés à ceux ayant reçu la procédure sham. Egalement, une évaluation de la proportion de patients « répondeurs » sera réalisée, incluant notamment le pourcentage de patients qui maintiennent leur acuité visuelle (perte 20/200, ou 1/10). Les paramètres visuels mesurés incluront également les champs visuels automatisés, la tomographie par cohérence optique, ainsi que la sensibilité aux couleurs et aux contrastes, en plus des mesures de qualité de vie, de bio-dissémination, et de réponse immunitaire post-injection.

Écrit par GenSight

Jeudi, 08 Septembre 2016 20:29 - Mis à jour Jeudi, 08 Septembre 2016 20:32

---

Les études sont menées en parallèle dans 7 centres aux Etats-Unis, au Royaume-Uni, en France, en Allemagne et en Italie. Les premiers résultats à 48 semaines de suivi sont attendus début 2018

# GenSight Biologics obtient l'autorisation d'inclure des adolescents dans les études cliniques de Phase III

Écrit par GenSight

Jeudi, 08 Septembre 2016 20:29 - Mis à jour Jeudi, 08 Septembre 2016 20:32

---