

GenSight Biologics recrute le premier patient dans l'étude clinique de Phase I/II PIONEER, première chez l'Homme, de GS030 combinant thérapie génique et optogénétique dans le traitement de la rétinopathie pigmentaire

Paris, France, le 26 octobre 2018, 7h30 CEST - GenSight Biologics (Euronext : SIGHT, ISIN : 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

aujourd

,

hui

que le premier sujet de l

,

étude clinique de Phase I/II, PIONEER, de GS030 a été traité au

Moorfields

Eye Hospital, Londres, Royaume-Uni

.

"Nous sommes particulièrement ravis de voir notre second programme, GS030, entrer en Clinique. C 'est un formidable accomplissement pour l'équipe, et un grand pas en avant pour les patients. L 'optogénétique est étudiée depuis des années dans les laboratoires de recherche, et s

,

annonce comme une

approche

particulièrement

prometteuse dans

le combat contre

la

cécité

et

l

es

autres pathologies
sensorielles et
neurologiques

,
"

a déclaré
Bernard Gilly

,
Co-fondateur et Directeur Général
de
GenSight
Biologics

,
"

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

,
"

PIONEER est une première étude chez l'homme, multicentrique, ouverte, de recherche de
dose, qui vise à

évaluer la sécurité et la tolérance de GS030 chez
18

patients atteints de rétine
ophtalmique

pigmentaire. GS030

associe une

thérapie génique (GS030-DP)

administrée

via une

unique

injection

intra

-

vitréenne

,
à

un

dispositif optronique de

stimulation

visuelle

visuel

le
(GS030-MD).

GS030 s'appuie sur la technologie optogénétique développée par GenSight, qui utilise la
thérape

utique pour
introduire un gène codant pour une protéine photosensible à l

intérieur de
s
cellules
ganglionnaires
de la rétine

via une
unique
injection
intra

-
vitreuse

, les
rend
ant

sensibles à la lumière
et contournant les photorécepteurs détruits

Les patients éligibles dans les trois premières cohortes seront ceux atteints de rétinopathie
pigmentaire non syndromique
avancée

,
présentant une acuité visuelle très basse
à

no light perception
(NLP) ou
light perception
(LP)

. La cohorte d

,
extension inclura également des patients moins sévères, présentant un niveau d

acuité visuelle
à

hand motion

(HM) voire

counting

fingers

(CF)

.

Selon le protocole, trois cohortes de trois patients chacune se verront administrer une dose croissante de GS030-DP en une seule injection intra-vitréenne dans l'œil le plus atteint.

Une quatrième cohorte

d

,

extension

recevra la plus forte dose tolérée. Un comité de surveillance et de suivi indépendant

(DSMB)

examinera les données de sécurité

des

patients traités de chaque cohorte et émettra

d

es recommandations avant de passer à

la

dose

su

ivante

.

Le critère principal d'évaluation sera la sécurité et la tolérance un an après l'injection.

"Je suis absolument ravi de franchir cette étape, car cela ouvre potentiellement la voie vers une amélioration importante de la qualité de

vue et de

vie des patients atteints de RP. C

,

est également une

reconnaissance de la qualité de la collaboration entre

|

,

équipe de

|

,

Institut de la Vision
et GenSight

,
"

a commenté le
Dr. José-Alain Sahel
, Directeur de

I
,

Institut
de la Vision (Sorbonne-
Université

/

Inserm
(CNRS), Paris;
Chef du service

d
,

Ophtalmologie
, Centre
Hospitalier
National
d'Ophtalmologie
des XV-XX, Paris;
Professeur
et Chef du service

d
,

Ophtalmologie
, University of Pittsburgh School of Medicine et UPMC (University of Pittsburgh Medical Center).

GS030 a reçu la désignation de médicament orphelin aux États-Unis et en Europe. PIONEER est conduite dans trois centres cliniques au Royaume-Uni, en France et aux États-Unis.

GenSight entend terminer le recrutement de l'étude au dernier trimestre 2019. Des observations préliminaires pour la première cohorte pourraient être disponibles au premier semestre 2019, et les résultats de topline pour la totalité des patients sont attendus au dernier trimestre 2020.

