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 accepté
e
s 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.

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).

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

intravitréenne
unique de GS010 (rAAV2/2-ND4) chez des sujets atteints de la NOHL indui
te 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 Ac uity
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'acuit
é 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.

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

.