

Paris, France, le 29 mai 2019, 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,

publie  
aujourd

hui  
les  
principaux  
faits  
marquants  
de la réunion de

l  
eaders d

o  
pinion  
(KOL)  
qui s

est tenue à  
N  
ew York  
le 23 mai  
2019

L  
événement était  
consacré  
aux derniers  
résultats cliniques de  
GS010,  
et  
en particulier aux observations  
à 96 semaines  
de l

étude clinique de

Phase  
III  
R  
EVERSE  
dans le traitement de la  
N  
europathie  
O  
ptique  
H  
héréditaire de Leber  
(  
NOHL  
).

Le panel d'experts médicaux était composé des Drs. David J. Calkins, PhD [\[1\]](#) ; Sean Donahue, PhD

[\[2\]](#)

;

Mark Moster

[\[3\]](#)

;

José-Alain Sahel

[\[4\]](#)

;

et

Robert C. Sergott

5

.

Par ailleurs

,

Andy Marks

,

un patient atteint de NOHL

et défenseur des droits des

patient

s

,

a parlé de son expérience

avec la

NOHL

.

Le Dr Donahue a démarré la discussion matinale par une présentation de la NOHL en tant que  
maladie  
géné

.  
Le  
Dr Moster  
a ensuite  
fait  
une analyse critique de la littérature  
relative à

l'  
,  
évolution de la vision après la perte brutale initiale

,  
tout au long de

l'  
,  
histoire  
naturelle de la maladie

.  
Le  
Dr Moster  
a souligné les  
différences  
au sein de  
la  
population  
étudiée

,  
en termes de  
mutations  
en cause

,  
et de la  
date

d  
,  
apparition de la maladie dans les études précédentes

.  
Ses  
analyses,  
qui tentaient de tenir compte des facteurs ci-dessus

,  
montrent

qu  
,  
il  
existe  
une  
«  
énorme différence  
»  
entre  
les résultats obtenus dans l  
,  
étude  
REVERSE  
et les  
résultats  
publiés dans la  
littérature médicale  
.

Tout aussi important, son expérience clinique et celle de ses pairs sont contraires aux améliorations durables observées dans l

,  
étude  
REVE  
R  
SE.  
«  
L  
es  
types d

,  
amélioration observés dans cette étude  
sont bien supérieurs à ce que nous voyons  
dans notre pratique clinique

,  
»  
a  
conclu le  
Dr Moster

.  
Il a rappelé à l  
,  
auditoire que les  
patients

de l

,

étude

REVERSE

étaient porteurs de la

mutation

la plus grave en termes de taux de guérison spontanée

.

Andy Marks a expliqué que la détérioration visuelle a des conséquences importantes sur la vie des patients. Il a décrit comment il avait dû renoncer à la maison

qu'il venait d'acheter lorsque

sa vue

a commencé à

baisser

à cause de

la

NOHL

,

et qu

,

il

a

dû déménager plus près de son bureau pour s

,

adapter à sa perte d

,

autonomie

.

Il a ensuite quitté

Orlando

pour habiter dans

la

région

de

New York,

où il serait moins pénalisé dans sa vie professionnelle par son incapacité à conduire

.

Parmi les autres patients de la communauté de la

NOHL

au sein

de

laquelle il est activement impliqué

,

Écrit par GenSight Biologics

Dimanche, 02 Juin 2019 20:13 - Mis à jour Dimanche, 02 Juin 2019 20:23

---

il n

,

a encore rencontré personne

dont les fonctions visuelles ont retrouvé le niveau décrit dans l

,

étude

REVERSE

,

après l

,

apparition de la maladie

.

«Nous vivons une époque où les thérapies géniques permettent des résultats remarquables »,

a

déclar

é

le

Dr Sergott,

qui a rappelé les principales observations de l

,

étude

REVERSE

.

Parmi les résultats sur l

,

efficacité

,

il a qualifié d

,

«

extraordinaire

»

la récupération de l

,

acuité visuelle

,

de

+15

lettres ETDRS comparé

e

à la

baseline

,

et  
de  
+28  
lettres ETDRS comparé  
e  
au  
nadir  
pour les yeux traités par  
GS010  
,  
contre  
+13  
et  
+23,  
respectivement  
,  
pour les yeux  
sham  
(  
ayant reçu une injection simulée  
).

Le Dr Sergott a également partagé des données disponibles depuis peu, recueillies à la  
Semaine 96, qui ont  
montré que  
:

- Chez la plupart des patients, les deux yeux tendaient à évoluer ensemble, de manière  
bilatéral

e  
;

- Une amélioration bilatérale a été observée chez la plupart des patients, comparée à la ba  
seline

;

- Chez les patients ayant obtenu une amélioration importante par rapport à la baseline et  
au  
nadir

, l  
,

acuité visuelle de l  
,

œ  
il traité par  
GS010 avait tendance à être supérieure à celle de l

œ  
il  
sham  
;

- Chez un nombre plus important de patients, l'amélioration par rapport au nadir était plus importante dans l

œ  
il traité par  
GS010

L'amélioration bilatérale était donc vérifiée pour les données individuelles des patients, et pas uniquement le résultat de données agrégées

La présentation du Dr Calkins était dédiée à cette amélioration bilatérale durable, en contradiction avec l

évolution naturelle de la maladie ou la pratique clinique connue

Il a d  
abord reconnu qu  
il aurait été surpris s



Écrit par GenSight Biologics

Dimanche, 02 Juin 2019 20:13 - Mis à jour Dimanche, 02 Juin 2019 20:23

---

il n

y avait eu aucun effet sur l

œ  
il controlatéral

Il a  
ensuite  
expliqué qu

un  
œ  
il peut interagir  
avec et compenser une faiblesse de son  
œ  
il controlatéral  
de nombreuses manières

Il a déclaré que «

œ  
il  
controlatéral devait  
nécessairement

s  
améliorer

L'équipe du Dr Calkins étudie comment, suite à un stress dans un œil, l'autre œil (non stressé)  
peut partager ses

res  
s  
ources  
énergétiques et métaboliques  
via  
le nerf optique

Le  
Dr Calkins

a suggéré que ce phénomène de compensation entre les yeux pourrait être dû aux réseaux formés entre les astrocytes et les neurones au niveau de la rétine et du nerf optique,

ce qui leur permet de partager des molécules métaboliques.

«

Ces ressources peuvent voyager via les réseaux d'astrocytes, de la rétine et du nerf optique.

et les neurones au niveau de la rétine et du nerf optique,

ce qui leur permet de partager des molécules métaboliques.

«

Ces ressources peuvent voyager via les réseaux d'astrocytes, de la rétine et du nerf optique,

et les neurones au niveau de la rétine et du nerf optique,

ce qui leur permet de partager des molécules métaboliques.

«

Ces ressources peuvent voyager via les réseaux d'astrocytes, de la rétine et du nerf optique,

ce qui leur permet de partager des molécules métaboliques.

«

Ces ressources peuvent voyager via les réseaux d'astrocytes, de la rétine et du nerf optique,

et les neurones au niveau de la rétine et du nerf optique,

ce qui leur permet de partager des molécules métaboliques.

«

Ces ressources peuvent voyager via les réseaux d'astrocytes, de la rétine et du nerf optique,

et les neurones au niveau de la rétine et du nerf optique,

ce qui leur permet de partager des molécules métaboliques.

«

Ces ressources peuvent voyager via les réseaux d'astrocytes, de la rétine et du nerf optique,

et les neurones au niveau de la rétine et du nerf optique,

ce qui leur permet de partager des molécules métaboliques.

«

Ces ressources peuvent voyager via les réseaux d'astrocytes, de la rétine et du nerf optique,

et les neurones au niveau de la rétine et du nerf optique,

ce qui leur permet de partager des molécules métaboliques.

«

Ces ressources peuvent voyager via les réseaux d'astrocytes, de la rétine et du nerf optique,

et les neurones au niveau de la rétine et du nerf optique,

ce qui leur permet de partager des molécules métaboliques.

«

Ces ressources peuvent voyager via les réseaux d'astrocytes, de la rétine et du nerf optique,

et les neurones au niveau de la rétine et du nerf optique,

ce qui leur permet de partager des molécules métaboliques.

«

Ces ressources peuvent voyager via les réseaux d'astrocytes, de la rétine et du nerf optique,

et les neurones au niveau de la rétine et du nerf optique,

ce qui leur permet de partager des molécules métaboliques.

«

énergie nécessaire pour  
le traitement visuel

.

Le Dr Sahel, co-fondateur de GenSight, a résumé les présentations en réitérant les observations d 'efficacité

é et en rejetant un «

effet placebo

» ou un «

effet d

,

entraînement

» pour expliquer ces résultats

.

Il

a ajouté qu

,

il

serait difficile de réconcilier l

,

évolution bilatérale

de

s yeux

des sujets

avec un «

effet placebo

» ou un «

effet d

,

entraînement

»

.

«

Comment

un effet

placebo

ou d

,

entraînement

pourrait

-il

avoir

un effet similaire à la baisse initiale d

,

un signal d

,

efficacité

[

effet

nadir

observé dans les études

REVERSE

et

RESCUE

]

suivie d

,

une

amélioration continue

par la suite

Comment

|

,

effet placebo ou d

,

entraînement

pourrait-il avoir un tel effet

C

,

est

très improbable

,

»

a-t-il expliqué

.

«

Ces résultats surprenants sont une bonne nouvelle pour les patients

.

»

Le Dr Donahue a conclu en partageant l'expérience d'un patient adolescent traité par GS010 d ans le cadre d

,

un programme

d

,

accès compassionnel

Écrit par GenSight Biologics

Dimanche, 02 Juin 2019 20:13 - Mis à jour Dimanche, 02 Juin 2019 20:23

---

.  
«  
Il est passé d  
,  
un stade où il avait besoin de l  
,  
aide de ses parents pour traverser une pièce à pouvoir  
jouer  
à nouveau  
au  
basket.  
Ce n  
,  
est  
certes  
|  
,  
expérience  
que d  
,  
un  
patient,  
mais vous  
noterez  
que ces résultats sont très impressionnants et la famille est très reconnaissante  
.  
»

A l'issue de ces discussions, Bernard Gilly, Directeur Général et co-fondateur de GenSight Bio  
logics

,  
a souligné la détermination de  
la Société  
à  
commercialiser  
GS010  
le plus tôt  
possible

.  
«  
L  
,  
équipe prépare  
activement

Écrit par GenSight Biologics

Dimanche, 02 Juin 2019 20:13 - Mis à jour Dimanche, 02 Juin 2019 20:23

---

la réunion

de pré-

s

ou

mission

avec l

,

EMA

,

ainsi que la réunion de fin de

Phase

2

avec la

FDA

afin d

,

entamer le processus réglementaire d

,

autorisation de

GS010

.

»

La présentation est accessible en replay sur le site web de la Société, à l'adresse suivante : <https://www.gensight-biologics.com/fr/2019/05/22/presentation-investisseurs-des-resultats-cliniques-de-phase-3-de-gs010-pour-le-traitement-de-la-neuropathie-optique-hereditaire-de-leber-nohl-new-york/>

.