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 rétin
opathie
pigmentaire. GS030
associe une
thérapie génique (GS030-DP)
administrée
via une
unique
injection
intra
-
vitréenne
,
à
un
dispositif optronique de
stimulat
ion
visuel

le
(GS030-MD).

GS030 s'appuie sur la technologie optogénétique développée par GenSight, qui utilise la thérapi e
génique pour
introduire un gène codant pour une protéine photosensible à l
'
intérieur de
s
cellules
ganglionnaires
de la rétine
via une
unique
injection
intra
-
vitréenne
, 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
l
'
équipe de
l
'

Institut de la Vision
et GenSight
,
"
a commenté le
Dr. José-Alain Sahel
, Directeur de
l
'
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 Etats-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.