Paris, France, le 13 janvier 2021, 7h30 CET - GenSight Biologics (Euronext : SIGHT, ISIN : F
R0013183985, éligible PEA-PME), société biopharmaceutique dédiée au développement et à
la commercialisation de thérapies géniques innovantes pour le traitement des maladies
neurodégénératives de la rétine et du système nerveux central, annonce aujourd
'
hui que l
e
journal
de
l
'
American
Academy
of Ophthalmology
,
Ophthalmology
®
,
vient de publier les résultats de
RESCUE
,
l
'
essai clinique pivot de phase
III de
la
thérapie génique LUMEVOQ
®
chez des patients atteints de
neuropathie optique héréditaire de Leber
ND4
(NOHL).
Cette publication
*
, parue dans le numéro de
janvier
sous le titre «
Efficacy
and
safety

of
intravitreal
gene
therapy
for Leber
hereditary
optic
neuropathy
treated
within
6
months
of
disease
onset
»
est le
second
article
publié dans une revue scientifique à comité de lecture
documentant
,
à partir de données
cliniques
de phase
III
,
une amélioration bilatérale de l
'
acuité visuelle
après
une injection unilatérale de thérapie génique.

« L'amélioration des deux yeux par rapport au nadir est convaincante, et ne correspond en rien à ce que nou
s connaissons
de l'histoire naturelle de cette maladie

», déclare le
Dr
Nancy J. Newman
,
pr
emier
auteur de l
'
article
,
investigateur principal de l
'
essai
R
ESCUE
,
et
Professeur d
'
Ophtalmologie et de Neurologie
LeoDelle
Jolley
,
Emory
University
School
of
Medicine
, Atlanta, Géorgie, Etats-Unis
.

« L'étude confirme le bénéfice clinique en préservant les cellules ganglionnaires de la rétine et les fibres du nerf optique grâce à la technologie de thérapie génique MTS (Mitochondrial Targeting
Sequence
)
»,
déclare
le
Pr
José-Alain Sahel
,
co-auteur de l
'

article
,
c
o-fondateur de GenSight
Biologics
,
Directeur de l
'
Institut de la
Vision
(Sorbonne-Université/Inserm/CNRS)
à Paris
, où a été développée la technologie
initiale
de ciblage mitochondrial
d
u
LUMEVOQ
®
.
«
De nombreuses
maladies mitochondriales pourraient être adressées
efficacement
, comme le démontre cette étude pivotale.
»
, ajout
e
le
P
r
Sahel
, qui
dirige
également
le Département d
'
Ophtalmologie du Centre Hospitalier National d
'
Ophtalmologie des
Quinze
-
Vingts
,
à
Paris

;
et
est Professeur et Directeur du Département d
'
Ophtalmologie de l
'
É
cole de Médecine de l
'
Université de Pittsburgh et de l
'
UPMC (
University
of Pittsburgh
Medical
Center)
aux
É
tats-Unis
.

Les résultats de l'essai RESCUE sont des éléments essentiels du corpus de données soumis par GenSight Biologics en septembre 2020 à l'Agence Europ
éenne du
M
édicament pour étayer sa demande d
'
autorisation de mise sur le marché de LUMEVOQ
®
dans le traitement de
s patients avec
une
perte d
e vision
secondaire à une
NOHL
causée par une
mutation confirmée du gène mitochondrial
ND4

. L
'
Agence devrait rendre sa décision au quatrième trimestre 2021.

Dans l'intervalle, les résultats d'une 3ème étude de Phase III, REFLECT, sont attendus au 2nd trimestre 2021.

Résultats de l'essai RESCUE

39 sujets atteints de NOHL ND4, dont la perte d'acuité visuelle s'était déclarée depuis moins de six mois dans au moins un œil, et depuis moins de 6 mois dans les deux yeux au moment de leur recrutement, ont participé à l'essai RESCUE

.
Comme dans l
'
essai REVERSE, un
œ
il a reçu une injection intravitréenne de la thérapie génique
LUMEVOQ
®
, et l
'
autre
œ
il une injection simulée (
sham
). Les sujets ont été suivis 96 semaines après leur injection, et les principaux résultats ont été communiqués
en 2019.

L'analyse de l'efficacité sur 38 sujets1 montre que l'acuité visuelle a évolué selon des trajectoires parallèles
dans
les yeux traités par LUMEVOQ
®
et
les yeux
sham
, se détériorant
d
'
abord jusqu
'
aux pires niveaux à la semaine 24,
avant de se stabiliser
jusqu'à la semaine 48,
et de s
'
améliorer enfin
jusqu'à la semaine 96.
À

la semaine 96, la variation moyenne par rapport
à l
'
acuité visuelle la plus basse enregistrée
, ou nadir, était de -0,53 LogMAR (+26 lettres ETDRS) dans les yeux traités par LUMEVOQ
®
et de -0,46 LogMAR (+23 lettres ETDRS)
dans les yeux non traités (
sham
)
. Cette amélioration était statistiquement significative dans les deux groupes
d
'
yeux
(p