Paris, 31 janvier 2017 - 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 la
U.S. Food and Drug Administration
(FDA)
a accordé la désignation de médicament orphelin
(ODD)
aux États-Unis
à son candidat-médicament GS030 pour le traitement de la rétinopathie pigmentaire.

« La désignation de médicament orphelin de GS030 en Europe et désormais aux Etats-Unis, ainsi que
la classification de médicament de thérapie innovante en Europe
, reconnaissent pleinement le
besoin médical urgent et insatisfait d'un traitement sûr et efficace pour les patients souffrant de rétinopathie pigmentaire, et
attestent du
potentiel
de
l'
optogénétique
et de
GS030 à adresser ce besoin
»
,
a commenté
Bernard Gilly
,

Directeur Général
de
GenSight
Biologics
.

GS030 est actuellement en étude de toxicité réglementaire, et devrait entrer en clinique avec une étude de Phase I/II chez des patients souffrant de rétinopathie pigmentaire au 3
ème
trimest
re
2017, sous r
é
serve des résultats de toxicité et de la revue réglementaire.

La FDA accorde le statut de médicament orphelin dans le but d'encourager le développement de thérapies pour traiter, prévenir ou diagnostiquer des maladies ou pathologies affectant moins de 200 000 personnes aux États-Unis. La désignation de médicament orphelin permet à GenSight Biologics de
bénéficier de mesures et d'avantages
aux
États-Unis
, notamment
d'
une période d'exclusivité de commercialisation
de 7 ans
si GS030 est approuvé dans le traitement de la rétinopathie pigmentaire.

GS030 a reçu à la fois la désignation de médicament orphelin et la classification de médicament de thérapie innovante en Europe en septembre 2016.

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 GS030

GS030 s'appuie sur la technologie optogénétique de GenSight, une approche innovante visant à restaurer la vision chez les patients en utilisant la thérapie génique
afin
d'
introduire un gène codant pour une protéine photosensible à l'intérieur de cellules spécifiques de la rétine pour les rend
re
sensibles à l
a
lumière.
Un dispositif de stimulation prenant la forme de lunettes, et visant à stimuler spécifiquement les cellules
transduites
, est développé afin d'amplifier le signal lumineux. Sur la base de
sa
technologie
optogénétique
,
et avec le soutien de l'Institut de la Vision à Paris,
GenSight
développe son second candidat-médicament, GS030, dans le but de restaurer la vis
i
on chez des patients souffrant de rétinopathie pigmentaire, ou RP. La RP est une maladie orpheline
causée par de multiples mutations de plusieurs gènes impliqués
dans le cycle visuel. La technologie
optogénétique
de
GenSight
est indépendante des mutations génétiques responsables de la maladie. En moyenne, les patients souffrant de RP commencent à perdre la vue à l'âge de jeune adulte, pour atteindre la cécité entre 40 et 45 ans. Il n'y a actuellement aucun traitement pour la RP. La
pr
é
valence
est estimée à 1,5 million de personnes affectées dans le monde. GS030 pourrait bénéficier à des stades précoces de la maladie.

À propos de l'Optogénétique

L'optogénétique est une technique biologique qui vise à transférer un gène codant pour une protéine photosensible dans des cellules neuronales dans le but de provoquer une réponse de ces cellules à la stimulation lumineuse. Il s'agit ainsi d'une méthode de neuromodulation pouvant être utilisée pour modifier ou contrôler individuellement l'activité de certains neurones, dans des tissus vivants ou même in-vivo, avec une extrême précision spatiale et temporelle. L'optogénétique combine l'utilisation de la thérapie génique, pour transférer le gène dans les neurones cibles, et l'utilisation de l'optique et de l'optronique pour délivrer la lumière aux cellules transduites. L'optogénétique est largement utilisée dans les laboratoires de recherche du monde entier et est une approche prometteuse dans les domaines de la malvoyance et des maladies neurologiques.