

Communiqué de presse

L'hôpital des Quinze-Vingts et GenSight Biologics annoncent une 1^{ère} Autorisation Temporaire d'Utilisation (ATU) de LUMEVOQ™ (GS010) en France

Paris, France, le 9 décembre 2019, 7h30 CET – Le Centre Hospitalier National d'Ophtalmologie des Quinze-Vingts à Paris et 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, annoncent aujourd'hui que l'Agence Nationale de Sécurité du Médicament (ANSM) a accordé une Autorisation Temporaire d'Utilisation (ATU) nominative de LUMEVOQ™ (GS010) au CHNO des Quinze-Vingts. Le Dr Catherine Vignal, à l'origine de cette demande, est autorisée à traiter avec LUMEVOQ™ un patient récemment atteint de Neuropathie Optique Héréditaire de Leber (NOHL). GenSight Biologics s'est engagé à fournir le produit pour une injection bilatérale.

« Alors que nous nous apprêtons à déposer une demande d'AMM en Europe en 2020, cette ATU témoigne à la fois du fort intérêt de la communauté médicale pour LUMEVOQ™ et de l'impact auprès des patients, » commente **Bernard Gilly**, Co-fondateur et Directeur Général de GenSight. *« Nous sommes bien évidemment disposés à fournir les produits disponibles si d'autres demandes étaient autorisées. »*

La Neuropathie Optique Héréditaire de Leber (NOHL) est une maladie mitochondriale rare, de transmission maternelle, caractérisée par une dégénérescence des cellules ganglionnaires de la rétine et provoquant en moins d'un an une perte brutale et irréversible de la vision conduisant généralement à la cécité légale. Ces symptômes apparaissent principalement chez les adolescents et les jeunes adultes. La NOHL provoque une perte brutale, soudaine et sans douleur de la vision centrale dans le 1^{er} œil, puis le 2nd œil est atteint à son tour, de manière irréversible. 97% des patients présentent une perte bilatérale de la vision en moins d'un an, l'atteinte simultanée des deux yeux se produisant dans 25% des cas. La NOHL entrainerait la cécité de 1 400 à 1 500 personnes par an aux Etats-Unis et en Europe.

« Le programme d'ATU en France est un moyen unique pour offrir aux patients atteints de NOHL avec la mutation ND4, une solution thérapeutique que constitue la thérapie génique LUMEVOQ, » déclare le **Dr Catherine Vignal**, Investigateur Principal au Centre Hospitalier National d'Ophtalmologie des Quinze-Vingts (Service du Pr José-Alain Sahel) et Chef du Service de Neuro-Ophtalmologie à la Fondation Rothschild. *« En tant que clinicienne, il est important d'avoir la possibilité de traiter ces patients, en étroite collaboration avec les autorités compétentes de l'ANSM, dans l'attente de l'autorisation officielle de mise sur le marché de la thérapie. »*

Cette autorisation est le fruit d'une étroite collaboration entre les médecins et pharmaciens du CHNO des Quinze-Vingts, l'association de patients « Ouvrir Les Yeux » et GenSight Biologics, au service des patients atteints de NOHL.

« L'accès au traitement par thérapie génique des personnes atteintes de NOHL est le fruit d'une décennie de recherche à l'Institut de la Vision et d'un partenariat réussi avec les équipes de GenSight Biologics, » déclare le **Pr 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 Quinze-Vingts, Paris; Professeur et Chef du service d'Ophtalmologie, University of Pittsburgh School of Medicine et UPMC (University of Pittsburgh Medical Center); et Co-fondateur de GenSight Biologics.

« Notre association s'implique avec cœur dans toutes les démarches qui peuvent améliorer la vie des patients atteints d'une neuropathie héréditaire et de leur famille. La thérapie génique vise à apporter une amélioration dans l'une des 3 principales mutations de la NOHL, » déclare **Maryse Roger**, Présidente de l'association *Ouvrir les yeux*. « Nous espérons l'aboutissement rapide des différentes recherches en cours afin que tous les patients puissent bénéficier d'un traitement au plus vite. Dans cette attente, *Ouvrir les Yeux* continue de faire entendre la voix des patients frappés brutalement par la cécité. »

En France, l'utilisation de spécialités pharmaceutiques ne bénéficiant pas encore d'une autorisation de mise sur le marché (AMM) et ne faisant pas l'objet d'un essai clinique est conditionnée à l'obtention préalable d'une ATU de l'ANSM.

Les ATU nominatives sont délivrées par l'ANSM dans les conditions suivantes :

- Les spécialités sont destinées à traiter, prévenir ou diagnostiquer des maladies graves ou rares,
- Il n'existe pas de traitement approprié disponible sur le marché,
- Leur efficacité et leur sécurité d'emploi sont présumées en l'état des connaissances scientifiques et la mise en œuvre du traitement ne peut pas être différée,
- L'ATU est délivrée à la demande et sous la responsabilité du médecin prescripteur dès lors que le médicament est susceptible de présenter un bénéfice pour ce patient.

« L'hôpital des Quinze-Vingts, la plus ancienne institution au monde de lutte contre la cécité, soutient sans réserve la stratégie d'innovation conduite par les équipes cliniques de l'établissement et celles de l'Institut de la Vision, » indique **Jean-François Ségovia**, Directeur du Centre Hospitalier National d'Ophtalmologie des Quinze-Vingts.

Contacts

Hôpital des Quinze-Vingts

Sylvie Renier
Affaires générales et
communication
srenier@15-20.fr
+33 (0)1 40 02 11 01

GenSight Biologics

Thomas Gidoïn
Directeur Administratif et
Financier
[tgidoïn@gensight-
biologics.com](mailto:tgidoïn@gensight-biologics.com)
+33 (0)1 76 21 72 20

James Palmer

Relations investisseurs
Europe
[j.palmer
@orpheonfinance.com](mailto:j.palmer@orpheonfinance.com)
+33 7 60 92 77 74

NewCap

Relations Média
Annie-Florence Loyer
afloyer@newcap.fr
+33 (0)1 44 71 00 12

À propos du Centre hospitalier national d'ophtalmologie des Quinze-Vingts

Le CHNO des Quinze-Vingts assure la prise en charge de la majeure partie de la pathologie ophtalmologique, qu'elle soit médicale, chirurgicale ou neuro-ophtalmologique dans le cadre des missions du service public hospitalier. L'offre de soins est construite autour quatre services hospitalo-universitaires d'ophtalmologie des Prs BAUDOIN, BORDERIE, NORDMANN et SAHEL, de trois centres spécialisés du glaucome, de la cornée et de la rétine venus compléter le centre des consultations d'ophtalmologie et des urgences ophtalmologiques 24h/24 et 7 jours/7. Un service de médecine interne vient compléter cette palette de prise en charge ainsi qu'un plateau technique complet hautement spécialisé. La recherche est au cœur de l'activité du CHNO, autour de l'Institut de la Vision (2008) construit sur l'emprise foncière des 15-20 dans le cadre d'un partenariat public/privé.

Le CHNO est partenaire fondateur avec Sorbonne Université, l'Inserm et la Fondation Voir et Entendre de l'Institut Hospitalo-Universitaire (IHU) FOReSIGHT (2018). Ils s'engagent ensemble dans un projet d'exception intégrant recherche fondamentale, recherche académique et recherche clinique visant à relever les défis des maladies de la vision.

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 intra-vitréenne dans chaque œil.

À propos de GS010

GS010 cible la neuropathie optique héréditaire de Leber (NOHL), et s'appuie sur une technologie propriétaire de séquence de ciblage mitochondrial (MTS), issue des travaux de l'*Institut de la Vision*, qui, lorsqu'elle est associée au gène d'intérêt, permet de l'adresser spécifiquement à l'intérieur de la mitochondrie grâce à un vecteur AAV (Adeno-Associated Virus). Le gène d'intérêt est ainsi transféré dans la cellule pour y être exprimé et produire la protéine fonctionnelle, qui sera acheminée à l'intérieur des mitochondries grâce aux séquences nucléotidiques spécifiques, afin de restaurer la fonction mitochondriale déficiente ou manquante.