

## GenSight Biologics annonce des communications scientifiques sur LUMEVOQ<sup>®</sup> au Congrès 2025 du NANOS

**Paris, France, le lundi, 17 mars 2025, 7h30 CET** – GenSight Biologics (Euronext : SIGHT, ISIN : FR0013183985, éligible PEA-PME), société biopharmaceutique dédiée au développement et à la commercialisation de thérapies géniques innovantes pour les maladies neurodégénératives de la rétine et du système nerveux central, annonce aujourd'hui que de nouvelles données et analyses scientifiques relatives à la thérapie génique LUMEVOQ<sup>®</sup> seront présentées lors du 51e Congrès Annuel de la *North American Neuro-Ophthalmology Society* (NANOS) qui se tient à Tucson, Arizona, États-Unis, du 15 au 20 mars 2025.

Des leaders d'opinion (*KOLs*) dans le domaine de la Neuropathie Optique Héréditaire de Leber (NOHL) partageront de nouvelles données sur les facteurs prédictifs de réponse au traitement avec LUMEVOQ<sup>®</sup>, sur la comparaison des résultats du traitement par l'idébénone et LUMEVOQ<sup>®</sup>, sur l'expérience réelle avec LUMEVOQ<sup>®</sup> et sur les résultats à long terme d'un traitement bilatéral avec la thérapie génique.

Poster : *“Predictive Factors of Improved Final Visual Outcome in Patients with Leber Hereditary Optic Neuropathy Treated with Lenadogene Nolparvovec Gene Therapy”*

- Présenté par : **Robert C. Sergott, MD**, Wills Eye Hospital, Philadelphie, États-Unis
- Poster Numéro 209
- Date et heure : lundi 17 mars 2025, de 17h00 à 18h00 (MDT)
- Lieu : Arizona Ballroom 1-6

Poster : *“Efficacy of Lenadogene Nolparvovec Gene Therapy Versus Idebenone: Two Matched Adjusted Indirect Comparisons”*

- Présenté par : **Patrick Yu-Wai-Man, MD, PhD**, Université de Cambridge, Moorfields Eye Hospital, et l'UCL Institute of Ophthalmology, Royaume Uni
- Poster Numéro 186
- Date et heure : lundi 17 mars 2025, de 18h00 à 19h00 (MDT)
- Lieu : Arizona Ballroom 1-6

Poster : *“Efficacy and Safety of Lenadogene Nolparvovec Gene Therapy for Leber Hereditary Optic Neuropathy in the Real-Life Setting”*

- Présenté par : **Mark L. Moster, MD**, Wills Eye Hospital, Philadelphie, États-Unis
- Poster Numéro 12
- Date et heure : dimanche 16 mars 2025, de 14h00 à 15h00 (MDT)
- Lieu : Arizona Ballroom 1-6

Présentation plate-forme : *“Long-Term Outcomes of Bilateral Injection of Lenadogene Nolparvovec Gene Therapy for Leber Hereditary Optic Neuropathy”*

- Présenté par : **Nancy J. Newman, MD**, Emory University School of Medicine, Atlanta, États-Unis
- Plate-forme Scientifique Session 1
- Date et heure : lundi 17 mars 2025, de 11h45 à 12h00 (MDT)
- Lieu : Tucson Ballroom

## Contacts

### GenSight Biologics

Directeur Administratif et Financier  
Jan Eryk Umiastowski  
[jeumiastowski@gensight-biologics.com](mailto:jeumiastowski@gensight-biologics.com)

### LifeSci Advisors

Relations avec les Investisseurs  
Guillaume van Renterghem  
[gvanrenterghem@lifesciadvisors.com](mailto:gvanrenterghem@lifesciadvisors.com)  
+41 (0)76 735 01 31

## À propos de GenSight Biologics

GenSight Biologics S.A. (GenSight Biologics) est une 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. 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. 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 la Neuropathie Optique Héritaire de Leber (NOHL)

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<sup>er</sup> œil, puis le 2<sup>nd</sup> œil est atteint à son tour, de manière irréversible. 97% des patients présentent une perte bilatérale de la vision en moins d'un an, et cette perte de vision est simultanée dans 25% des cas.

## À propos de LUMEVOQ® (GS010 ; lenadogene nolparvovec)

LUMEVOQ® (GS010 ; lenadogene nolparvovec) 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* à Paris, 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. « LUMEVOQ » a été autorisé comme nom commercial pour le GS010 (lenadogene nolparvovec) par l'Agence Européenne des Médicaments (EMA) en octobre 2018. LUMEVOQ® (GS010 ; lenadogene nolparvovec), n'a été enregistré dans aucun pays à ce stade.