

## GenSight Biologics fait le point sur ses opérations en 2021 dans le contexte COVID-19

**Paris, France, le 14 mai 2021, 7h30 CEST** – GenSight Biologics (Euronext : SIGHT, ISIN : FR0013183985, 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, fait un point aujourd'hui sur l'impact de la pandémie de COVID-19 sur ses opérations en 2021.

*« Cela fait un peu plus d'un an que nous adaptons nos opérations au COVID-19, et que nous avons fait le point avec vous sur son impact sur nos activités. Bien que les conditions se soient améliorées dans de nombreuses régions, la crise du COVID-19 continue d'impacter les écosystèmes médicaux et réglementaires. GenSight se prépare à la commercialisation de LUMEVOQ d'abord en Europe en 2022, puis en Amérique du Nord un an plus tard, bien que le US Defense Production Act introduise un léger retard dans la fabrication de nos lots de validation, »* a commenté **Bernard Gilly**, co-fondateur et Directeur Général de GenSight Biologics. *« Notre équipe sera prête en temps voulu à mettre LUMEVOQ à la disposition des patients atteints de cette maladie particulièrement invalidante qu'est la NOHL, et continuera à travailler sans relâche pour développer des stratégies alternatives afin de minimiser l'impact du COVID-19 sur nos opérations. »*

### Lancement commercial de LUMEVOQ® en Europe toujours prévu au S1 2022

Les essais cliniques de phase III **REVERSE et RESCUE** de LUMEVOQ® (GS010) pour le traitement de la neuropathie optique héréditaire de Leber (NOHL) sont achevés, et les patients ont été inclus dans une étude de suivi à long terme pour une période de 3 années supplémentaires. L'efficacité soutenue de LUMEVOQ® trois ans après l'injection a été rapportée précédemment. Les patients font désormais l'objet d'un suivi annuel, et compte tenu du caractère de suivi de ces visites et de la stabilité des patients sans problème de sécurité, le report de certaines de ces visites a été une mesure de précaution acceptable, qui ne devrait avoir aucun impact sur la conduite des essais, et sera correctement documenté et signalé aux régulateurs.

Le **partenaire stratégique de production (contrat d'externalisation, CDMO)** pour LUMEVOQ®, ThermoFischer Scientific (TFS) à Boston (Etats-Unis), maintient ses activités et devrait fabriquer trois lots de validation dans le cadre du dépôt de demande d'AMM auprès de l'Agence Européenne des Médicaments (EMA) en Europe. TFS a informé la Société qu'en conséquence de la loi américaine sur la production de défense ([Defense Production Act](#) ou DPA), les fournisseurs américains ont dû rediriger certains consommables vers la fabrication de vaccins COVID aux États-Unis. Nous comprenons qu'il s'agit d'un problème industriel qui touche de nombreux fabricants, et en particulier les sociétés biotechnologiques et pharmaceutiques. Cela a entraîné un allongement des délais d'approvisionnement de certains composants nécessaires à la fabrication de LUMEVOQ®. En conséquence, la Société a anticipé des retards dans la soumission des données des lots de validation à l'EMA et, après discussion avec l'Agence Européenne, a convenu d'une extension de la période de « clock-stop ». Les réponses aux questions de l'Agence reçues au 120<sup>ème</sup> jour de la procédure d'enregistrement sont donc désormais attendues d'ici janvier 2022, et non plus en août 2021. Sur la base de ce nouveau calendrier, la Société attend désormais un décalage de l'approbation de l'EMA pour LUMEVOQ® du T4 2021 au S1 2022. Le calendrier révisé sera confirmé dès que TFS sera en mesure de donner plus de clarté sur la disponibilité du matériel. Le calendrier de commercialisation reste inchangé et la Société continuera à construire la

plate-forme commerciale européenne en 2021 pour préparer le lancement commercial de LUMEVOQ® en Europe, toujours attendu au S1 2022.

### Parcours réglementaire de LUMEVOQ® aux US : Résultats de Phase III REFLECT en juin 2021 ; Dépôt du BLA désormais attendu au T2 2022

Le recrutement est achevé pour l'essai clinique de phase III **REFLECT** de LUMEVOQ®, avec un critère principal d'évaluation mesuré à 78 semaines. En dépit du report de certaines visites hospitalières en raison des restrictions de voyage liées au COVID-19, la Société a maintenu un partenariat étroit avec les centres cliniques, documenté et notifié ces reports aux autorités de santé de manière adéquate, et les a également spécifiés préalablement dans le Plan d'Analyse Statistique (SAP), en accord avec les biostatisticiens, avant le gel de la base de données. GenSight Biologics a ainsi pu collecter les données de 95 des 98 patients de l'étude, sans conséquence sur le critère principal d'évaluation, autre qu'un décalage des résultats à 78 semaines du T1 initialement à juin 2021. La Société prévoit de rencontrer la *U.S. Food and Drug Administration* (FDA) dans le cadre d'un « *pre-BLA meeting* » au T3 2021. En raison de l'impact du DPA aux Etats-Unis sur la production des lots de validation de LUMEVOQ®, le dépôt de demande d'enregistrement réglementaire auprès de la FDA est désormais prévu au T2 2022.

### Etude clinique de Phase I/II PIONEER de GS030 dans la Rétinopathie Pigmentaire (RP)

Soucieuse de protéger les patients, la Société a décidé, d'un commun accord avec les investigateurs, de reporter le recrutement de nouveaux patients dans la troisième cohorte de l'étude de Phase I/II **PIONEER** de GS030 jusqu'à ce que la situation liée à l'épidémie de COVID-19 se soit améliorée. De fait, la rétinopathie pigmentaire est une maladie chronique qui ne nécessite pas de traitement urgent. GenSight Biologics et les investigateurs ont considéré que l'utilisation de corticostéroïdes avant et après l'injection de thérapie génique, effectuée dans le cadre du protocole afin de minimiser la réaction inflammatoire, exposait les patients à un risque plus élevé d'infection au COVID-19. En attendant, les six patients des deux premières cohortes ont fait l'objet d'une évaluation à distance de la bonne tolérance du traitement par les investigateurs. Par conséquent, le recrutement a pris plus de temps que prévu.

Le recrutement de la troisième cohorte de PIONEER, qui associe thérapie génique et optogénétique pour le traitement de la rétinopathie pigmentaire (RP), est désormais entièrement achevé. Le comité indépendant de surveillance et de suivi (*Data Safety Monitoring Board* ou DSMB) devrait formuler une recommandation dans les prochaines semaines sur la dose optimale à utiliser dans la cohorte d'extension. GenSight Biologics entend terminer le recrutement de cette cohorte d'extension d'ici fin 2021. En attendant, la Société prévoit de publier des premières observations très prochainement au T2 2021, et des résultats préliminaires additionnels plus tard dans la seconde moitié de l'année.

### Autorisation Temporaire d'Utilisation, usage compassionnel et programmes d'accès précoce de LUMEVOQ®

Des patients supplémentaires ont été traités avec LUMEVOQ® au T1 2021 dans le cadre d'une **Autorisation Temporaire d'Utilisation (ATU)** délivrée par l'Agence Nationale de Sécurité du Médicament et des produits de santé (ANSM). Des ATUs supplémentaires ont été demandées par le CHNO des Quinze-Vingts à Paris.

GenSight Biologics s'est engagé à fournir le médicament, dans la limite des stocks disponibles. La Société n'anticipe pas, pour le moment, de rupture de stock liée à l'impact du DPA sur TFS aux Etats-Unis, et suit de très près la situation. Les injections bilatérales, au prix de 700 000 € par patient, devraient générer du chiffre d'affaires jusqu'à l'autorisation de mise sur le marché et le remboursement officiel en France. Par ailleurs, la Société a déposé une demande d'ATU de cohorte auprès de l'ANSM afin de faciliter plus encore l'accès des patients à LUMEVOQ® en France. La demande est en cours d'instruction, et les patients peuvent bénéficier d'ATUs nominatives en attendant la décision de l'ANSM.

Un usage compassionnel a été accordé en Italie, et certains patients ont déjà pu être traités au T1 2021. Un programme d'utilisation compassionnelle en Allemagne est également en cours d'examen par les autorités compétentes. Enfin, des patients ont été traités aux États-Unis dans le cadre d'un programme d'accès précoce (*Early Access Program* ou EAP) accordé par la FDA. Pour tous ces programmes, LUMEVOQ® est fourni à titre gratuit aux médecins à l'initiative de la demande d'accès au traitement.

GenSight Biologics continue à mettre en œuvre une série de mesures pour assurer la protection de ses équipes contre le virus COVID-19, en appliquant notamment le télétravail pour l'ensemble de ses collaborateurs. Ces mesures n'ont d'aucune manière impacté les activités du siège parisien.

La Société est financée a minima jusqu'à la fin du T2 2023, et est en mesure de faire face à toute évolution de l'épidémie de COVID-19 avec autant de flexibilité et de capacité d'anticipation qu'il sera nécessaire.

## Contacts

### GenSight Biologics

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

### NewCap

Relations avec les Medias  
Annie-Florence Loyer  
[afloyer@newcap.fr](mailto:afloyer@newcap.fr)  
+33 (0)6 88 20 35 59

### LifeSci Advisors

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

### Orpheon Finance

Investisseurs Particuliers  
James Palmer  
[j.palmer@orpheonfinance.com](mailto:j.palmer@orpheonfinance.com)  
+33 (0)7 60 92 77 74

## 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 intra-vitréenne dans chaque œil. Développé dans le traitement de la neuropathie optique héréditaire de Leber (NOHL), le principal produit candidat de GenSight Biologics, LUMEVOQ® (GS010 ; lenadogene nolparvovec), est actuellement en cours d'instruction pour un enregistrement en Europe, et en phase III préalablement au dépôt de la demande d'autorisation de mise sur le marché aux États-Unis (*Biologics License Application* [BLA]).