

## GenSight Biologics fait le point sur les activités de production nécessaires à la demande d'Autorisation de Mise sur le Marché de LUMEVOQ®

**Paris, France, le 4 novembre 2021, 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 trois lots de validation ont été produits comme requis pour la demande d'Autorisation de Mise sur le Marché de LUMEVOQ® en Europe. La production des lots s'est déroulée comme prévu, et de manière comparable entre eux. Cependant, un problème technique survenu dans une dernière étape du processus « *downstream* » oblige la Société à répéter ces lots de validation. L'investigation a permis d'identifier le problème technique comme étant lié aux conditions opératoires, ne remettant absolument pas en cause le processus de fabrication.

« *Cet événement imprévu représente un retard dans la mise à disposition de notre thérapie attendue par les patients,* » commente **Bernard Gilly**, Co-fondateur et Directeur Général de GenSight Biologics. « *Mais nous avons pu constater que la cause première n'était pas liée au processus de fabrication lui-même, et avec les actions correctives désormais en place, nous sommes déterminés à reprendre la production dès décembre. Nous sommes convaincus que nos succès à ce jour - collaboration productive avec l'EMA, démonstration du bénéfice thérapeutique, preuves d'une excellente tolérance et obtention d'une ATU en France - aboutiront à une approbation réglementaire.* »

GenSight Biologics et son partenaire de production ont convenu de reprendre la fabrication des lots dès décembre 2021. Le nouveau calendrier permettra de générer les données requises pour les réponses à 120 jours (D120) dans la procédure d'examen de l'Agence Européenne du Médicament (EMA). Les réponses dans les autres domaines du dossier (non-clinique, clinique et pharmacovigilance) ne sont pas impactées et sont en cours de rédaction sur la base du calendrier initial de la période de « *clock stop* » à D120, qui devait reprendre en janvier 2022.

En raison du nouveau calendrier de production, la Société a sollicité une prolongation de 9 mois de la période de « *clock stop* » à D120 actuelle auprès du Comité des thérapies innovantes (*Committee for advanced therapies* ou CAT) de l'EMA. La demande sera discutée lors de la réunion du comité du 3 au 5 novembre. La Société communiquera dès réception de la réponse de l'Agence.

L'équipe de direction de GenSight organisera deux conférences téléphoniques **jeudi 4 novembre 2021** :

- En français à **9h00 CET**
- En anglais à **13h00 CET (8h00 EST)**

Une rediffusion des webcasts sera disponible en utilisant les mêmes liens ci-dessous.

**Jeudi 4 novembre 2021, 9h00 CET** (Français)

Lien du webcast: <https://bit.ly/3nU0fh8>

**Jeudi 4 novembre 2021, 13h00 CET (8h00 EST)** (Anglais)

Lien du webcast: <https://bit.ly/3GRh17R>

## 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

### LifeSci Advisors

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

### Image 7

Communication et Relations Presse  
Julia Friedlander-Most / Romain Grière  
[gensight@image7.fr](mailto:gensight@image7.fr)  
+33 (0)6 83 00 97 55 / +33 (0)7 86 53 17 29

### 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'examen pour enregistrement en Europe, et en phase III préalablement au dépôt de la demande d'autorisation de mise sur le marché aux Etats-Unis (*Biologics License Application* [BLA]).

## 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.