

## GenSight Biologics annonce le succès de la production du lot pilote de LUMEVOQ® validant les actions correctives mises en œuvre

- Le succès du lot pilote (*engineering run*) valide les mesures prises pour corriger les faibles rendements des lots précédents
- Le rendement est considérablement amélioré à un niveau supérieur à tous les lots précédents
- Avis du Comité des Médicaments à Usage Humain (CHMP) toujours attendu au T3 2023

**Paris, France, le 19 septembre 2022, 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 les maladies neurodégénératives de la rétine et du système nerveux central annonce aujourd'hui le succès de la production du premier lot pilote (*engineering run*) intégrant les améliorations dans le processus de fabrication de LUMEVOQ®, la thérapie génique de la Société pour la neuropathie optique héréditaire de Leber (NOHL). Ce lot était le premier à mettre en œuvre une série de mesures correctives ciblées identifiées par la Société et son partenaire de production aux États-Unis en avril de cette année, et portant sur le renforcement du contrôle des procédures ainsi que la mise en place d'une supervision renforcée sur site<sup>1</sup>.

« *Le rendement obtenu avec ce lot pilote est extrêmement positif, et nous donne une plus grande confiance dans notre capacité à produire LUMEVOQ de manière constante et avec la meilleure qualité d'exécution possible à l'avenir* », a commenté **Bernard Gilly**, Directeur Général et Co-Fondateur de GenSight Biologics. *"Bien que ce contretemps de fabrication ait retardé le calendrier initial, nous tenons à réaffirmer aux patients atteints de NOHL ainsi qu'à leurs professionnels de santé, que nous continuons à travailler sans relâche pour faire approuver LUMEVOQ, afin de leur apporter une solution thérapeutique le plus rapidement possible et de la façon la plus sûre.* »

Le lot pilote réussi a généré un produit (*drug substance*) dont le titre viral a atteint le seuil d'acceptation, confirmant ainsi que le processus de fabrication de LUMEVOQ® est robuste à la taille de lot définie. De plus, les résultats démontrent que les actions correctives ont résolu les problèmes liés aux étapes de filtration du processus « *downstream* », ce qui a permis d'améliorer de façon significative le rendement (i.e. la quantité de produit récoltée) à un niveau jamais atteint auparavant.

La Société avance désormais avec une confiance renouvelée pour reprendre le programme d'accès précoce, le développement clinique et préparer la commercialisation. GenSight prévoit toujours d'obtenir un avis du Comité Européen des Médicaments à Usage Humain (CHMP) d'ici T3 2023, suivi du lancement commercial d'ici la fin de l'année 2023.

---

<sup>1</sup> En avril 2022, GenSight avait annoncé un délai dans la production des lots de validation (PPQ) de son produit dans la neuropathie optique héréditaire de Leber (NOHL). Ce délai, accordé par l'Agence Européenne des Médicaments (EMA), était nécessaire à la mise en œuvre d'ajustements opérationnels avec son partenaire de fabrication afin d'assurer une exécution fiable de son processus de fabrication. Le succès de ce premier lot pilote démontre que les ajustements mis en œuvre par GenSight en étroite collaboration avec son partenaire de production ont permis de résoudre les problèmes d'exécution, et même d'améliorer l'exécution de son processus de fabrication.

## Contacts

### GenSight Biologics

Directrice Communication Corporate  
Caillet Clothilde  
[ccaillet@gensight-biologics.com](mailto:ccaillet@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

### 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 intravitréenne 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 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]). LUMEVOQ® (GS010 ; lenadogene nolparvovec), n'a été enregistré dans aucun pays à ce stade ; une demande d'autorisation de mise sur le marché est actuellement examinée par l'EMA pour le traitement de la neuropathie optique héréditaire de Leber (LHON).