

GenSight Biologics fait le point sur le calendrier de production et de commercialisation de LUMEVOQ®

- Démarrage de la campagne PPQ début mai 2023 (précédemment fin mars) avec des résultats attendus au T3 2023
- Avis du CHMP de l'EMA désormais attendu au T1 2024 (précédemment septembre 2023)

Paris, France, le mardi 7 mars 2023, 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, fait le point aujourd'hui sur le calendrier de production et de commercialisation de LUMEVOQ®, la thérapie génique de la Société pour le traitement de la Neuropathie Optique Héritaire de Leber (NOHL).

Deux lots pilotes (*engineering run*) ont été fabriqués avec succès¹ grâce à la collaboration étroite de l'équipe Ingénierie (*Manufacturing Sciences and Technology*, MSAT) de Brammer Bio (une filiale de Thermo Fisher Scientific, ou TFS), le partenaire de production de GenSight aux États-Unis, et les propres experts « métier » de la Société. A la suite de ces lots pilotes, un lot GMP (*Good Manufacturing Practices*, qui sont les normes requises pour les lots commerciaux) a été programmé avant de lancer la production de la campagne de validation (3 lots GMP consécutifs, ou campagne PPQ [*Process Performance Qualification*]) nécessaire pour compléter le dossier réglementaire européen actuellement examiné par l'Agence Européenne du Médicament (EMA). Ce lot GMP a été mis en produit selon les standards GMP par l'équipe Opérations de Production (*Manufacturing Operations*) de TFS.

En raison d'un problème opérationnel dans la mise en œuvre du processus « *downstream* » chez TFS, le lot a été interrompu. En collaboration avec TFS, une investigation est en cours pour identifier la cause précise avant d'initier la campagne de validation. Afin de prévenir la survenue d'un tel problème opérationnel et assurer le succès des opérations, GenSight et TFS sont convenus d'impliquer conjointement l'équipe MSAT et les propres experts de GenSight (y compris la présence en continu d'une personne sur site) en temps réel dans l'exécution de la campagne de validation.

« *Je regrette profondément ce retard supplémentaire, même s'il est limité. Cependant, suite à la production réussie de deux lots pilotes consécutifs grâce à l'aide et la supervision des experts de GenSight, nous sommes confiants dans le fait que les mesures mises en œuvre conjointement avec notre partenaire de production conduiront à la réussite de la campagne de validation* », a déclaré **Bernard Gilly**, Directeur Général et Co-fondateur de GenSight Biologics. « *Avec notre partenaire, nous sommes engagés et déterminés à amener LUMEVOQ sur le marché pour les patients atteints de NOHL, et consacrons tous nos efforts à assurer le succès de la production des futurs lots.* »

GenSight prévoit désormais de lancer la campagne de validation en mai 2023, avec des résultats attendus au T3 2023 (précédemment au T2 2023). Les rapports des lots PPQ de la campagne de validation seront soumis à l'EMA dès qu'ils seront disponibles. Ils permettront également de reprendre la mise à disposition

¹ <https://www.gensight-biologics.com/fr/2022/10/28/gensight-biologics-publie-sa-situation-nette-de-tresorerie-et-son-chiffre-daffaires-au-30-septembre-2022/>

du produit dans le cadre de l'AAC (Autorisation d'Accès Compassionnel, précédemment ATU) en France au T4 2023, et d'être utilisés pour le lancement commercial. GenSight prévoit désormais de recevoir l'avis du Comité Européen des Médicaments à Usage Humain (CHMP) d'ici le T1 2024 (précédemment fin septembre 2023), rapidement suivi par le lancement commercial de LUMEVOQ® en Europe. En parallèle, GenSight reprendra ses interactions avec la *Food and Drug Administration* (FDA) américaine afin de sécuriser un parcours réglementaire aux États-Unis.

La Société prend des mesures visant à réduire ses dépenses opérationnelles en 2023, prolongeant ainsi son horizon de financement de mai à juin 2023, tout en discutant activement plusieurs options avec certains actionnaires existants et partenaires financiers en vue de financer ses opérations jusqu'aux résultats de la campagne de validation attendus au T3, ce qui déclencherait le versement de la Tranche B de 12 millions d'euros du prêt BEI.

Contacts

GenSight Biologics

Directrice Communication Corporate
Caillet Clothilde
ccaillet@gensight-biologics.com

Taddeo

Communication et Relations Presse
Julia Friedlander-Most
julia.friedlander@taddeo.fr
+33 (0)6 83 00 97 55

LifeSci Advisors

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

Orpheon Finance

Investisseurs Particuliers
James Palmer
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 nolparvec), 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 États-Unis (*Biologics License Application* [BLA]). LUMEVOQ® (GS010 ; lenadogene nolparvec), n'a été enregistré dans aucun pays à ce stade ; une demande d'autorisation de mise sur le marché est actuellement en cours d'examen par l'EMA pour le traitement de la neuropathie optique héréditaire de Leber (LHON).

À propos de LUMEVOQ® (GS010 ; lenadogene nolparvec)

LUMEVOQ® (GS010 ; lenadogene nolparvec) 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 nolparvec) par l'Agence Européenne des Médicaments (EMA) en octobre 2018. LUMEVOQ® (GS010 ; lenadogene nolparvec), n'a été enregistré dans aucun pays à ce stade ; une demande d'autorisation de mise sur le marché est actuellement en cours d'examen par l'EMA pour le traitement de la neuropathie optique héréditaire de Leber (LHON).