

## GenSight Biologics annonce les résultats préliminaires d'un 2<sup>nd</sup> lot GMP de LUMEVOQ<sup>®</sup> produit avec succès

- Une confirmation du titre viral par un laboratoire indépendant est attendue dans les prochains jours
- Ce dernier lot est le 2<sup>ème</sup> à venir valider les corrections mises en place dans le plan de remédiation
- Ce lot pourrait être disponible au début du 2<sup>ème</sup> trimestre 2024 pour une reprise potentielle du programme d'accès précoce et le lancement du nouvel essai clinique RECOVER, et fournira des données supplémentaires pour la future soumission réglementaire
- Préparation en cours pour la production prévue d'un 3<sup>ème</sup> lot GMP

**Paris, France, le lundi 13 novembre 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, annonce aujourd'hui qu'un test préliminaire du titre viral confirme le succès de la production d'un second lot de *Drug Substance* (DS) pour LUMEVOQ<sup>®</sup>, la thérapie génique de la Société pour le traitement de la neuropathie optique héréditaire de Leber (NOHL), conforme aux normes de bonnes pratiques de fabrication (BPF, ou Good Manufacturing Practice (GMP)).

Le test, bien que préliminaire, est reconnu comme prédictif du résultat final du laboratoire indépendant utilisé pour le test de libération officielle. Le lot ayant été fabriqué conformément aux protocoles de fabrication GMP, qui sont les normes requises pour les lots commerciaux, la thérapie génique issue de la *Drug Substance* de ce lot pourra être administrée chez des patients après avoir passé l'intégralité des tests de contrôle qualité, et dans l'attente de l'accord des organismes de réglementation.

« Nous sommes ravis que les actions menées en collaboration avec notre partenaire de production, notamment autour d'efforts de formation et d'une supervision renforcée pour l'équipe opérationnelle, aient contribué au succès de ces deux lots, » a commenté **Scott Jeffers**, Directeur Technique de GenSight Biologics. « Les registres de lots et les instructions de travail optimisés, associés à une formation renforcée et à notre présence sur le site de production pour chaque opération critique, ont considérablement réduit les déviations au processus. Nous allons désormais nous appliquer à intégrer ce niveau de qualité d'exécution dans nos futures campagnes, afin que GS010 puisse être mis à la disposition des patients NOHL qui ont un besoin urgent d'un traitement. »

Les préparatifs sont en cours pour le troisième lot GMP de la campagne prévue par la Société. Comme pour les deux lots produits avec succès jusqu'à présent, tous en dehors du contexte d'une campagne de validation<sup>1</sup>, le troisième lot permettra d'acquérir plus de données de production de lots pour renforcer une

---

<sup>1</sup> Une campagne de validation (*Process Performance Qualification* ou PPQ) consiste à fabriquer séquentiellement, et avec succès, un minimum de 3 lots GMP (Good Manufacturing Practices, ou Bonnes Pratiques de Fabrication, standards requis pour un usage humain en dehors d'un essai clinique) afin de démontrer et documenter la robustesse, le contrôle, la cohérence et la reproductibilité du procédé de fabrication commercial au sein du site de production commerciale retenu. Cet exercice n'est requis que dans le

future soumission de demande d'autorisation de mise sur le marché (AMM), plus d'expérience avec le procédé de fabrication pour les équipes opérationnelles, tout en répondant au besoin immédiat de fournir du produit à la fois pour lancer le nouvel essai clinique RECOVER, et pour une possible reprise du programme d'accès précoce au début du deuxième trimestre 2024.

GenSight Biologics communiquera à nouveau dans les prochains jours lorsque les résultats du titre viral seront confirmés par le laboratoire indépendant. Dès cette confirmation, la Société serait éligible au tirage de la deuxième tranche de 4 millions d'euros du financement relais signé en août 2023 avec Sofinnova Partners, Invus et UPMC Enterprises (le « **Financement Relais** »).

L'horizon de trésorerie serait prolongé jusqu'à mi-décembre 2023 avec le tirage de la deuxième tranche du Financement Relais, pour un montant de 4 millions d'euros. Suite au tirage de la deuxième tranche, GenSight Biologics devra rechercher d'autres sources de financement en dettes, non-dilutifs ou en capitaux propres au-delà de cette date afin de compléter son besoin en fonds de roulement et de financer ses dépenses opérationnelles jusqu'à la reprise de l'Autorisation d'Accès Compassionnel (AAC) en France prévue au début du deuxième trimestre 2024. GenSight Biologics estime avoir besoin d'environ 10 millions d'euros, en plus de la deuxième tranche du Financement Relais, pour financer ses activités jusqu'à cette date.

## Contacts

### GenSight Biologics

Directeur Administratif et Financier  
Thomas Gidoïn  
[tgidoïn@gensight-biologics.com](mailto:tgidoïn@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. 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 phase III préalablement au dépôt de la demande d'autorisation de mise sur le marché en Europe et aux Etats-Unis (*Biologics License Application* [BLA]). LUMEVOQ® (GS010 ; lenadogene nolparvec), n'a été enregistré dans aucun pays à ce stade.

## 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.