

## GenSight Biologics annonce une avancée majeure dans son nouveau partenariat de fabrication avec Catalent

- La phase amont du procédé de fabrication de LUMEVOQ® a été transférée avec succès à Catalent
- Cette étape fait suite à la production réussie d'un lot de *drug product* destiné au programme d'accès compassionnel (AAC) et à l'étude de « dose-ranging » en France
- Le partenariat permettra d'améliorer les rendements et de perfectionner les méthodes analytiques en vue de leur utilisation clinique et des soumissions réglementaires

**Paris, France, le 26 juin 2025, 7h30 CET** – GenSight Biologics (Euronext : SIGHT, ISIN : FR0013183985, éligible au PEA-PME), société biopharmaceutique spécialisée dans le développement et la commercialisation de thérapies géniques innovantes pour les maladies neurodégénératives rétinien et les troubles du système nerveux central, annonce aujourd'hui le transfert réussi de la phase amont du procédé de fabrication de LUMEVOQ®, son produit candidat de thérapie génique destiné au traitement de la neuropathie optique héréditaire de Leber (NOHL), une maladie mitochondriale rare, vers son nouveau partenaire de fabrication, Catalent, Inc.

« Ce résultat remarquable constitue une étape importante dans la stratégie de GenSight visant à sécuriser l'approvisionnement de LUMEVOQ pour une utilisation clinique et pour contribuer aux soumissions réglementaires », a déclaré **Scott Jeffers**, Directeur Technique de GenSight Biologics. « Notre nouveau partenariat s'avère très performant, non seulement pour mener à bien le transfert de technologie, mais aussi pour améliorer les rendements et perfectionner les méthodes analytiques utilisées pour renforcer le contrôle de la sécurité et la qualité de chaque lot. Le niveau de collaboration et de coordination entre nos équipes est vraiment remarquable ».

Catalent, Inc. est une société de développement et de fabrication sous contrat (CDMO) de renommée mondiale, dont la mission est de développer, fabriquer et fournir des produits qui aident les gens à mener des vies meilleures et plus saines. Il est à ce jour le seul CDMO ayant produit, avec succès, dans ses propres installations une thérapie génique commercialisée. Catalent propose aux entreprises de thérapie génique une offre complète, combinant capacités de production et contrôles internes. Pour GenSight, la capacité de production conforme aux BPF (Bonnes Pratiques de Fabrication) du site dédié à LUMEVOQ® offre une flexibilité accrue dans la production de cette thérapie génique.

Catalent a fabriqué avec succès un lot de *drug product*, libéré pour usage humain en novembre 2024 et qui servira à approvisionner le programme d'accès compassionnel (AAC) et l'étude de « dose-ranging » en France. Après la fin du transfert de technologie, Catalent assurera également la fabrication des lots destinés au futur essai clinique mondial de Phase III, RECOVER, et aux soumissions réglementaires.

### Un partenariat clé dans la stratégie de GenSight Biologics

Suite à l'accord de l'ANSM de considérer dans les meilleurs délais l'ouverture du programme d'AAC en France après approbation d'une étude de « dose-ranging », GenSight Biologics met en œuvre une

stratégie de financement, tout en poursuivant l'avancement de sa stratégie globale d'autorisation de mise sur le marché :

- Préparation des interactions réglementaires aux États-Unis et dans l'Union européenne
- Planification de l'essai clinique international de Phase III prévu pour 2026, conçu pour répondre aux exigences de la FDA et de l'EMA
- Finalisation du transfert vers un nouveau partenaire de fabrication (Catalent) afin de garantir un approvisionnement clinique et commercial fiable.
- Préparation de la demande d'autorisation de mise sur le marché auprès de la MHRA au Royaume-Uni

« *Notre partenariat avec un leader mondial de la fabrication comme Catalent est un pilier essentiel de notre stratégie globale* », a expliqué **Laurence Rodriguez**, Directrice Générale de GenSight Biologics.

« *Les résultats de cette collaboration renforceront la confiance des autorités réglementaires en notre capacité à surmonter les défis rencontrés par le passé et à accomplir notre mission : proposer aux patients atteints de NOHL un traitement sûr et efficace répondant à un besoin médical urgent non satisfait.* »

## Contacts

### GenSight Biologics

Directeur Financier

Jan Eryk Umiastowski

[jeumiastowski@gensight-biologics.com](mailto:jeumiastowski@gensight-biologics.com)

## À propos de GenSight Biologics

GenSight Biologics S.A. est une société biopharmaceutique en phase clinique, spécialisée dans le développement et la commercialisation de thérapies géniques innovantes pour les maladies neurodégénératives de la rétine et les troubles du système nerveux central. Le portefeuille de produits de GenSight Biologics repose sur deux plateformes technologiques clés : la séquence de ciblage mitochondrial (MTS) et l'optogénétique, visant à préserver ou restaurer la vision chez les patients atteints de maladies rétinianes cécitantes. Le candidat principal de la Société, GS010 (lenadogene nolparvovec), est en Phase III pour le traitement de la neuropathie optique héréditaire de Leber (NOHL), une maladie mitochondriale rare provoquant une cécité irréversible chez les adolescents et jeunes adultes. Grâce à son approche fondée sur la thérapie génique, les candidats de GenSight Biologics sont conçus pour être administrés en une seule injection intravitréenne par œil, dans le but d'offrir aux patients une récupération visuelle fonctionnelle durable.

## À propos de la Neuropathie Optique Héréditaire de Leber (NOHL)

La neuropathie optique héréditaire de Leber (NOHL) est une maladie mitochondriale rare, de transmission maternelle, caractérisée par une dégénérescence des cellules ganglionnaires de la rétine et provoquant en moins d'un an une perte brutale et irréversible de la vision conduisant généralement à la cécité légale. Ces symptômes apparaissent principalement chez les adolescents et les jeunes adultes. La NOHL provoque une perte brutale, soudaine et sans douleur de la vision centrale dans le 1<sup>er</sup> œil, puis le 2<sup>nd</sup> œil est atteint à son tour, de manière irréversible. 97% des patients présentent une perte bilatérale de la vision en moins d'un an, et cette perte de vision est simultanée dans 25% des cas.

## 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. LUMEVOQ® (GS010 ; lenadogene nolparvovec), n'a été enregistré dans aucun pays à ce stade.