COMMUNIQUÉ DE PRESSE

Premier patient traité dans un essai de Phase 1 évaluant BT-001 de Transgene et BioInvent dans le cancer du rectum

Transgene et l'Université de Copenhague collaborent dans le cadre de l'étude OV-PRIME-R initiée par l'investigateur (*Investigator-sponsored trial-IST*) évaluant la combinaison du virus oncolytique armé BT-001 avec un anti-PD-1 chez des patients atteints d'un cancer du rectum localisé présentant un statut *pMMR*[1]

Strasbourg, France, le 5 novembre 2026, 8 h 00 – **Transgene (Euronext Paris : TNG),** société de biotechnologie qui conçoit et développe des immunothérapies reposant sur des vecteurs viraux contre les cancers, et **l'hôpital Bispebjerg et Frederiksberg (Université de Copenhague), Danemark**, annoncent que **le premier patient a été traité avec succès dans l'étude de Phase 1 OV-PRIME-R**[2]**.** Cette étude initiée par l'investigateur (*IST*) évalue BT-001, un virus oncolytique armé administré par voie intratumorale en combinaison avec pembrolizumab[3] par voie intraveineuse chez des patients atteints de cancer du rectum localisé présentant un statut *pMMR*. Cette population représente environ 95 % des cas de cancer du rectum, qui, à ce jour, montrent une réponse limitée à l'immunothérapie utilisée seule.

Henry G. Smith, PhD, professeur, chirurgien consultant au Centre abdominal K de l'hôpital Bispebjerg et Frederiksberg (Université de Copenhague), et investigateur principal, déclare : *« Nous sommes ravis de lancer cet essai clinique, qui explore une approche innovante du traitement du cancer du rectum chez des patients présentant un statut* pMMR. *Chez les patients atteints d'une maladie localisée, BT-001, un virus oncolytique armé, en combinaison avec une thérapie anti-PD-1, permettra de renforcer la réponse immunitaire et d'améliorer l'avenir des patients en réduisant les risques de rechute voire en diminuant le recours à la chirurgie. Cette étude représente une étape importante vers des stratégies thérapeutiques plus efficaces et moins toxiques pour cette population de patients pour lesquels le traitement médical reste insuffisant. »*

« Nous sommes fiers de soutenir cet essai clinique à l'initiative des investigateurs, mené en collaboration avec l'Université de Copenhague, évaluant BT-001 chez des patients atteints d'un cancer du rectum à haut risque de rechute et exposés à des toxicités sévères liées aux traitements standards, » ajoute la **Dr Emmanuelle Dochy, MD, Directrice des Affaires**

[1] *pMMR proficient mismatch repair*
[2] *Oncolytic Virotherapy to enhance PReoperative IMmunotherapy Efficacy in pMMR Rectal cancer - OV-PRIME-R - EUCT number: 2025-524375-23-00*
[3] *Thérapie anti-PD-1, KEYTRUDA® marque déposée de Merck Sharp & Dohme LLC (MDS), filiale de Merck & Co., Inc., Rahway, NJ, USA.*

médicales chez Transgene. « *BT-001 a déjà démontré une excellente tolérance ainsi que sa capacité à transformer des tumeurs dites "froides" en tumeurs biologiquement actives. Cette étude vise à confirmer davantage son potentiel à améliorer les résultats thérapeutiques et la qualité de vie des patients atteints de cancer.* »

Bien que la (chimio)-radiothérapie néoadjuvante réduise le risque de récidive et permette la préservation d'organe chez certains patients, moins de 30 % d'entre eux obtiennent une réponse complète et certains développent encore des récidives à distance. Les options adjuvantes actuelles restent encore restreintes, soulignant la nécessité de traitements efficaces et bien tolérés, capables de prévenir les rechutes sans altérer la qualité de vie.

L'objectif de cette étude est d'évaluer la sécurité, la tolérance et l'efficacité d'un traitement néoadjuvant associant BT-001 à un anticorps anti-PD-1 avant la chirurgie standard chez des patients atteints d'un cancer du rectum localisé.

Transgene et BioInvent développent conjointement BT-001, issu de la plateforme Invir.IO® de Transgene (VVcopTK-RR-). Il est conçu pour exprimer la cytokine GM-CSF et l'anticorps monoclonal anti-CTLA-4 de BioInvent et a pour but d'induire une réponse immunitaire antitumorale puissante tout en minimisant les effets indésirables systémiques associés.

La capacité de BT-001 à induire des réponses immunitaires antitumorales locales et à distance (voir communiqué de presse), en fait un candidat de choix pour remodeler le microenvironnement tumoral des cancers du rectum *pMMR* et améliorer les réponses aux inhibiteurs de point de contrôle sans exposer le patient aux effets secondaires liés à une administration systémique, comme l'ont montré les premiers essais cliniques de BT-001 chez des patients atteints de cancers métastatiques résistants aux traitements.

***

Contacts

Transgene
Media:
Caroline Tosch-Pourchot
Responsable Communication Corporate et Scientifique
+33 (0)3 68 33 27 38
communication@transgene.fr

Investisseurs & Analystes :
Lucie Larguier
Directrice Financière
+ 33 (0)3 88 27 91 00/21
investorrelations@transgene.fr

CDR Grayling
Olivier Bricaud/Marie Frocrain
+ 33 (0) 7 63 73 05 6 7 / + 33 (0)6 04 67 49 75
transgeneFR@citigatedewerogerson.com

À propos de Transgene

Transgene (Euronext : TNG) est une société de biotechnologie qui conçoit et développe des produits d'immunothérapie contre les cancers. Le portefeuille de Transgene se compose de plusieurs immunothérapies basées sur des vecteurs viraux au stade clinique.

TG4050, candidat phare de la Société, est le premier traitement individualisé issu de la plateforme *myvac*® et a obtenu la preuve de principe clinique chez des patients atteints de cancer de la tête et du cou, traités en situation adjuvante. TG4070, un second candidat vaccin individualisé issu de la plateforme *myvac*® intègre des outils propriétaires basés sur l'IA pour la sélection de néoantigènes et des capacités de production industrialisable à grande échelle. Il est en Phase 1 de développement clinique en situation adjuvante chez des patients atteints de cancer du poumon non à petites cellules (CPNPC). La Société développe d'autres candidats basés sur des vecteurs viraux tels que BT-001, un virus oncolytique basé sur le virus breveté de la plateforme invir.IO®, en développement clinique. La Société mène d'autres programmes de recherche basés sur sa technologie de vecteurs viraux pour soutenir le développement de son portefeuille de candidats.

Avec *myvac*®, la vaccination thérapeutique entre dans la médecine de précision avec une immunothérapie innovante spécifique à chaque patient. Cette immunothérapie permet d'intégrer, dans un vecteur viral, des mutations tumorales (néoantigènes) propres à chaque patient. Transgene a également étendu son expertise avec son outil propriétaire basé sur l'IA permettant une sélection de haute précision des néoantigènes et une production sur lignée cellulaire, déployable à grande échelle.

Grâce aux avancées technologiques issues de sa plateforme *myvac*®, Transgene a développé TG-MVA™, un candidat vaccin préventif de nouvelle génération contre le mpox et la variole, conçu pour apporter une réponse aux enjeux majeurs de production et d'approvisionnement.

Une plateforme issue de l'expertise de Transgene en ingénierie des vecteurs viraux permet de concevoir une nouvelle génération de virus oncolytiques multifonctionnels.

Plus d'informations sur www.transgene.com.

Suivez-nous sur LinkedIn : @Transgene, Bluesky : @Transgene et X : @TransgeneSA

À propos de BT-001

BT-001 est un virus oncolytique breveté issu de la plateforme propriétaire Invir.IO® (VVcopTK-RR—). Ce candidat-médicament a été conçu pour exprimer un anticorps monoclonal anti-CTLA-4 humain éliminant des cellules immunosuppressives (Treg) issu de la technologie n-CoDeR®/F.I.R.S.T™ de BioInvent et la cytokine humaine GM-CSF. En ciblant sélectivement le microenvironnement de la tumeur, BT-001 a pour but d'induire une réponse antitumorale forte et efficace. Par conséquent, en limitant l'exposition systémique, cette approche vise à considérablement améliorer le profil de sécurité et de tolérance de l'anticorps anti-CTLA-4 humain. L'essai de Phase I/IIa en cours (NCT04725331) est une étude multicentrique et ouverte, visant à évaluer la sécurité et l'activité antitumorale de l'administration intratumorale de BT-001 seul ou en combinaison avec pembrolizumab chez des patients atteints de tumeurs solides avancées.

Déclarations prospectives

Ce communiqué de presse contient des informations et/ou déclarations prospectives pouvant être remises en cause par un certain nombre d'aléas et d'incertitudes, de sorte que les résultats effectifs pourraient différer significativement de ceux anticipés. Il n'existe aucune garantie (i) que les résultats des travaux précliniques et des essais cliniques antérieurs soient prédictifs des résultats des essais cliniques actuellement en cours, (ii) que les autorisations réglementaires portant sur les thérapies de Transgene seront obtenues ou (iii) que la Société trouvera des partenaires pour développer et commercialiser ses thérapies dans des délais raisonnables et dans des conditions satisfaisantes. La survenue de ces risques pourrait avoir un impact négatif significatif sur les activités de la Société, ses perspectives, sa situation financière, ses résultats ou ses développements. Pour une description des risques et incertitudes de nature à affecter les résultats, la situation financière, les performances ou les réalisations de la Société et ainsi à entraîner une variation par rapport aux déclarations prospectives, veuillez-vous référer à la rubrique « Facteurs de Risque » du Document d'enregistrement universel déposé auprès de l'AMF et disponible sur les sites internet de l'AMF (www.amf-france.org) et de la Société (www.transgene.com). Les déclarations prospectives ne sont valables qu'à la date du présent document et Transgene ne s'engage pas à mettre à jour ces déclarations prospectives, même si de nouvelles informations devaient être disponibles à l'avenir.