

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

- Le redémarrage de la campagne PPQ est prévu au T4 2022
- Scott Jeffers est nommé Directeur Technique et supervisera les opérations de fabrication et de chaîne d'approvisionnement

Paris, France, le jeudi 7 avril 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 un délai dans la production des lots de validation (PPQ) de LUMEVOQ®, la thérapie génique de la société pour le traitement de la neuropathie optique héréditaire de Leber (NOHL). Ce délai est nécessaire à la mise en œuvre d'ajustements opérationnels qui préviendront la répétition de problèmes rencontrés lors de la dernière campagne PPQ. La société vise un redémarrage de la campagne au quatrième trimestre 2022.

La dernière campagne, lancée après la résolution d'un problème d'équipement qui avait fait échouer la campagne de 2021, a généré un produit (*drug substance*) dont le titre viral était inférieur au seuil d'acceptation. Les investigations menées par des experts externes ont permis d'attribuer ce résultat à des difficultés opérationnelles dans des étapes spécifiques du processus « *downstream* ». Afin d'éviter que ces problèmes ne se reproduisent, la société travaille en étroite collaboration avec son partenaire de production à la mise en œuvre de corrections ciblées autour du renforcement du contrôle des procédures, ainsi qu'à la mise en place d'une supervision plus rigoureuse à l'intérieur des suites de fabrication. En outre, la société a décidé de produire plusieurs lots pilotes (*engineering runs*) de taille réduite afin de confirmer la robustesse des mesures correctives.

« *Nous sommes conscients de la position difficile dans laquelle se trouvent les patients atteints de NOHL, et c'est pourquoi nous avançons rapidement, mais avec discernement, afin de mettre en œuvre l'ensemble de corrections ciblées identifiées par nos experts* », a commenté **Bernard Gilly**, co-fondateur et Directeur Général de GenSight Biologics. « *Nous sommes plus que jamais déterminés à résoudre cette situation. En effectuant des séries de vérifications supplémentaires au travers des *engineering runs*, nous allons redémarrer la campagne PPQ avec une confiance accrue dans le fait que le processus de fabrication sera opéré de manière fiable et selon les standards d'exécution les plus élevés.* »

« *Dans l'intervalle, nos équipes travailleront avec les KOL, les centres de traitement et les autorités locales pour s'assurer que les patients identifiés pendant cette phase d'ajustement reçoivent un traitement dans les meilleurs délais* », a ajouté Bernard Gilly. Le stock de flacons de LUMEVOQ® disponibles pour un usage compassionnel étant épuisé, les traitements ne pourront reprendre que début 2023 lorsque les résultats des tests confirmeront la qualité du produit de la nouvelle campagne PPQ. « *Nous sommes résolument engagés à fournir aux patients atteints de NOHL un accès à notre thérapie innovante le plus tôt possible.* »

Scott Jeffers, nommé au poste de Directeur Technique (*Chief Technical Officer*), assumera les responsabilités de la précédente Vice-Présidente des Opérations Pharmaceutiques, et dirigera les efforts visant à garantir une campagne PPQ plus robuste. Scott rejoint GenSight riche d'une forte expérience au sein de plusieurs laboratoires pharmaceutiques, ainsi que dans des sociétés spécialisées dans la

production de médicaments (CDMOs), à des postes à haute responsabilité en charge des opérations de production (CMC).

« Je suis ravi de diriger les efforts de GenSight pour améliorer l'exécution de son processus de fabrication éprouvé », a commenté Scott Jeffers. « La production de vecteurs AAV est, en général, un processus relativement bien connu, mais il existe des spécificités au LUMEVOQ qui doivent être prises en compte. Le temps supplémentaire nécessaire à la mise en œuvre des corrections identifiées permettra de garantir l'impact et le succès de notre plan d'action. »

Scott Jeffers sera épaulé par **Jay Stout**, un expert de renom et consultant sur les sujets de production de produits biologiques, et de thérapies géniques et cellulaires. Tous deux basés aux États-Unis, ils collaboreront étroitement avec le partenaire de production de la Société, sur le site même où sont menées les opérations de fabrication de LUMEVOQ®.

GenSight a entamé des discussions sur le nouveau calendrier de production avec l'Agence Européenne des Médicaments, tout en finalisant les réponses à l'ensemble des questions à 120 jours (D120) non liées à la fabrication des lots PPQ. La société fera un point dès que l'Agence aura formulé un retour.

L'équipe de direction de GenSight organisera un webcast en direct aujourd'hui, **jeudi 7 avril 2022**, afin de commenter le plan de fabrication. Le webcast sera conduit en anglais, et une traduction simultanée en français sera également disponible.

Jeudi 7 avril 2022

14h00 CEST / 8h00 EDT

Retransmission en direct en anglais : <https://bit.ly/3uggMcZ>

Traduction simultanée en français : <https://bit.ly/3jdSuk2>

La diffusion en replay sera disponible sous forme d'enregistrements en utilisant les mêmes liens que ceux utilisés pour accéder à la diffusion en direct.

GenSight Biologics publiera ses résultats financiers 2021 le 8 avril 2022.

Contacts

GenSight Biologics

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

Image 7

Communication et Relations Presse
Julia Friedlander-Most / Romain Grière
gensight@image7.fr
+33 (0)6 83 00 97 55 / +33 (0)7 86 53 17 29

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 intra-vitréenne 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 actuellement 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]).