

COMMUNIQUÉ DE PRESSE

**Le R&D Day de Cellechis souligne le potentiel de lasmé-cel pour combler un besoin médical majeur non satisfait chez les patients atteints de LAL-B en rechute ou réfractaire**

- **Efficacité** : taux de réponse global (ORR) de 68 % avec le Process 2 de lasmé-cel (P2) (n=22) ; 83 % à la dose recommandée de Phase 2 (RP2D, n=12) ; et 100 % dans la population cible de Phase 2 (n=9)<sup>1</sup>
- **Sécurité** : en Phase 1 (n=40), lasmé-cel a été globalement bien toléré - un cas de syndrome hémophagocytaire associé aux effecteurs immunitaires (IEC-HS) de grade 2, résolu
- **Durabilité** : chez les patients en RC/RCi MRD-négative, la survie globale médiane (OS) était de 14,8 mois
- Population cible de Phase 2 : RC/RCi 56 % avec ~80 % des sujets MRD-négatifs
- **Transplantation** (population cible de Phase 2) : 100 % des patients sont devenus éligibles à la greffe, et 78 % ont effectivement été greffés
- **Patients lourdement prétraités** : parmi 11 patients précédemment traités par les trois thérapies ciblées (inotuzumab, blinatumomab et CAR-T anti-CD19), 8 ont répondu et 7 ont atteint une MRD négative
- La phase 2 pivot de l'étude BALLI-01 dans la LAL-B en rechute ou réfractaire a été initiée
- Potentiel de ventes brutes maximales pouvant atteindre environ 700 millions de dollars aux États-Unis, dans l'UE4 et au Royaume-Uni

**Le 16 octobre 2025 - New York (N.Y.)** - Cellechis (Euronext Growth: ALCLS - Nasdaq: CLLS), société de biotechnologie de stade clinique, qui utilise sa plateforme pionnière d'édition de génome pour développer des thérapies cellulaires et géniques innovantes pour le traitement de maladies graves, a organisé un R&D Day pour présenter des données cliniques prometteuses issues de la phase 1 de l'essai clinique BALLI-01 évaluant lasmé-cel (UCART22) chez des patients non éligibles à la greffe atteints de leucémie aigüe lymphoblastique à cellules B (LAL-B) en rechute ou réfractaire en troisième ligne de traitement et au-delà ( $\geq 3L$ ). L'entreprise a également dévoilé le design de la phase 2 pivot de l'essai clinique, la voie d'enregistrement envisagée pour la première indication de lasmé-cel, ainsi que le potentiel commercial associé. L'événement a réuni des experts internationaux en

---

<sup>1</sup> Lasmé-cel n'est pas un produit commercialisé autorisé par la FDA

hématologie lors d'un panel consacré au potentiel de lasmé-cel pour répondre aux besoins médicaux de patients lourdement prétraités.

« Les résultats de la phase 1 de l'essai clinique BALLI-01 dans une population ayant, pour l'essentiel, épuisé les options thérapeutiques et au pronostic défavorable, sont très encourageants. Le taux de réponse observé, qui a permis à une forte proportion de patients d'accéder à la greffe, avec un potentiel de rémission durable, est cliniquement significatif. Nous mettons tout en œuvre pour accélérer la phase pivot de notre essai clinique et pour mettre lasmé-cel à disposition des patients confrontés à ce besoin médical important » a déclaré Adrian Kilcoyne, MD, MPH, MBA, Directeur Médical de Cellectis.

« Aujourd'hui, Cellectis franchit un cap en faisant entrer lasmé-cel en phase 2 pivot. Les besoins sont majeurs dans la LAL-B en rechute ou réfractaire, en particulier chez l'adulte, pour qui chaque jour compte. Notre stratégie consiste à obtenir une rémission complète avec maladie résiduelle (MRD) négative rapidement, à créer une fenêtre vers la greffe de cellules souches hématopoïétiques et, ce faisant, à améliorer la survie globale des patients. Cellectis ouvre la voie des CAR-T allogéniques, pensés pour être plus sûrs, plus rapides, plus industrialisables et plus accessibles. Lasmé-cel est conçu pour être prêt à l'emploi, disponible quand le patient est prêt, et peut ainsi permettre un contrôle rapide de la maladie plutôt que d'attendre, rapprochant potentiellement davantage de patients du moment où la greffe devient possible » a déclaré le docteur André Choulika, directeur général de Cellectis. « C'est pourquoi une approche anti-CD22 allogénique n'est pas "un programme CD19 de plus", mais une solution potentielle pour une population plus large confrontée à la LAL-B en rechute ou réfractaire »

### **Phase 1 de l'étude BALLI-01 évaluant lasmé-cel**

La phase 1 de l'essai clinique BALLI-01 mené par Cellectis, a été conçu pour évaluer la sécurité et l'activité clinique de lasmé-cel chez des patients atteints de LAL-B en rechute ou réfractaire.

La phase 1 de l'essai clinique BALLI-01 a inclus 40 patients âgés de 15 à 70 ans exprimant > 70 % de CD22 sur les blastes leucémiques. Il s'agissait d'une population lourdement prétraitée avec une médiane de 4 lignes antérieures de traitements : 80 % avaient reçu du blinatumomab, environ la moitié de l'inotuzumab et un CAR-T autologue anti-CD19.

Lasmé-cel a été administré à escalade de dose après lymphodéplétion soit avec de la fludarabine et de la cyclophosphamide (FC), soit avec de la fludarabine, de la cyclophosphamide et de l'alemtuzumab (FCA). L'alemtuzumab a été ajouté au régime de lymphodéplétion pour maintenir la déplétion des cellules T et des cellules Natural Killer (NK) de l'hôte et pour favoriser l'expansion et la persistance de lasmé-cel.

### **Sécurité – Résultats de Phase 1**

Les données de sécurité de la phase 1 indiquent que lasmé-cel a été globalement bien toléré, conformément aux attentes pour des thérapies CAR-T, avec des événements indésirables gérables, notamment un syndrome de libération des cytokines (CRS) et un syndrome de neurotoxicité associée aux cellules effectrices immunitaires (ICANS).

- Les toxicités limitant la dose (DLT) ont été rares, avec un seul cas rapporté au niveau de la dose 3 (DL3)
- Au niveau de la DL3, un événement indésirable d'intérêt spécial (AESI) est survenu chez 2,5 % des patients pour le CRS et 5 % pour l'ICANS

- 8 événements indésirables graves (SAE) liés à lasmé-cel ont été rapportés

## **Données d'activité de phase 1**

Dans la phase 1 de l'essai clinique BALLI-01, 40 patients non éligibles à la greffe en 3<sup>e</sup> ligne et au-delà ont reçus le produit candidat lasmé-cel : 18 avec un produit fabriqué par un CDMO externe (Process 1, P1) et 22 avec un produit fabriqué par Cellectis (Process 2, P2). Dans cet ensemble, P2 est présenté comme associé à des taux de réponse plus élevés que P1.

- Taux de rémission complète (RC) / rémission complète avec récupération hématologique incomplète (RCi) : 18 % avec P1 vs 36% avec P2

À la dose DL3 du Process 2 (P2), identifiée comme dose recommandée pour la phase 2 (RP2D), 12 patients (n=12) ont reçu lasmé-cel.

- Le taux de RC/RCi a atteint 42 %, avec 80 % des répondeurs ont été MRD négatifs

Dans le sous-groupe des 9 patients correspondant à la population de la phase 2 pivot (P2, DL3, ≤ 50 ans ; n=9) :

- Le taux de RC/RCi était de 56 %, avec 80 % des répondeurs MRD négatifs
- Le taux de réponse global (ORR) était de 100 %, dont 78 % MRD négatifs

Dans la cohorte de patients P2, 13 patients avaient reçu de l'inotuzumab (anti-CD22). Parmi eux, 4 (31 %) ont atteint une RC/RCi MRD négative, et tous sont devenus éligibles à une greffe (HSCT). Dans l'ensemble de P2, le taux de réponse globale (ORR) s'est établi à 69 %, et 83 % des répondeurs étaient MRD négatifs.

Au sein du sous-ensemble RP2D (DL3), 7 patients sur 12 avaient reçu de l'inotuzumab ; 43 % ont obtenu une RC/RCi MRD négative, et tous sont devenus éligibles à une greffe (HSCT).

Dans la cohorte P2, 11 patients sur 22 avaient reçu trois thérapies ciblées (CAR-T anti-CD19, blinatumomab et inotuzumab). Parmi ces patients très lourdement prétraités, 36 % ont atteint une RC/RCi MRD négative.

L'essai clinique suggère que les patients ayant été transplantés (HSCT) après un traitement avec lasmé-cel présentent une tendance de survie globale plus longue que ceux qui n'ont pas été greffés.

Les données de la phase 1 indiquent que lasmé-cel a conservé son activité quel que soit le nombre ou le type de traitements antérieurs, notamment CAR-T (60 % des patients), greffe (50 %) et blinatumomab (80 %).

Pris dans leur ensemble, ces résultats positionnent lasmé-cel comme une option potentiellement différenciante pour les patients atteints de LAL- B en rechute ou réfractaire.

À la suite de réunions de fin de phase 1 concluantes avec la Food and Drug Administration des États-Unis (FDA) et l'Agence Européenne des Médicaments (EMA), Cellectis a défini une voie d'enregistrement pour lasmé-cel en tant que traitement de "pont" vers la greffe dans la LAL en rechute ou réfractaire. L'inclusion du premier patient dans la phase 2 pivot de l'essai clinique est prévue au 4<sup>ème</sup> trimestre 2025. Cellectis prévoit de soumettre une demande d'autorisation de mise sur le marché (BLA) en 2028.

## Panel LAL-B

Le R&D Day de Cellectis a également accueilli un panel de leaders d'opinion internationaux en hématologie, consacré au potentiel de lasmé-cel pour répondre aux besoins médicaux importants des patients atteints de LAL-B en rechute ou réfractaire et lourdement prétraités.

Étaient présents parmi ce panel :

- Professeur Nitin Jain, Professeur de médecine, Department of Leukemia, MD Anderson Cancer Center
- Professeur Nicolas Boissel, Chef de l'unité Adolescents et Jeunes Adultes, Service d'hématologie, Hôpital Saint-Louis (AP-HP)
- Docteur Aravind Ramakrishnan, oncologue référent et Program Medical Director, Sarah Cannon Transplant & Cellular Therapy Program

## Opportunité commerciale de lasmé-cel

Dans le cadre de sa présentation au R&D Day, la Société a décrit le potentiel commercial de lasmé-cel dans la LAL- B en rechute ou réfractaire.

Sous réserve d'une autorisation de mise sur le marché, Cellectis estime qu'il pourrait adresser jusqu'à environ 1900 patients éligibles en troisième ligne et au-delà en 2035, sur l'ensemble des États-Unis, de l'UE4 (Allemagne, France, Espagne, Italie) et du Royaume-Uni. Sur une incidence estimée à près de 9200 patients traités en première ligne, environ 45 % devraient progresser vers une deuxième ligne (principalement des adolescents et des adultes, les résultats étant meilleurs chez l'enfant), et près des deux tiers des patients traités en deuxième ligne devraient nécessiter une prise en charge supplémentaire. Enfin, environ 70 % des patients traités en troisième ligne seraient considérés comme candidats potentiels à un CAR-T allogénique, selon l'état général et les comorbidités.

Lasmé-cel apparaîtrait bien positionné pour capter une part majoritaire de ce marché adressable, grâce à une cible alternative au CD19, une administration unique, une disponibilité « prêt à l'emploi » et des réponses profondes MRD-négatives observées en troisième ligne et au-delà. Les cliniciens experts interrogés indiquent qu'ils l'utiliseraient chez une majorité de patients en troisième ligne et au-delà si le traitement était disponible, et des analogies en oncologie suggèrent, à titre indicatif, une part de préférence d'environ 65 % parmi les patients éligibles.

Enfin, lasmé-cel présente un potentiel de prix élevé aux États-Unis, dans l'UE4 et au Royaume-Uni. Pour l'UE4 et le Royaume-Uni, Cellectis a établi un prix de référence indicatif en 2025 d'environ 365 000 dollars, en s'appuyant sur la moyenne des prix pratiqués pour les CAR-T, avec une hypothèse de stabilité de ce prix à l'horizon 2035. Pour les États-Unis, Cellectis retient un prix de référence indicatif en 2025 d'environ 515 000 dollars, toujours fondé sur la moyenne des CAR-T, et projette un prix catalogue 2035 en croissance annuelle moyenne d'environ 5 % (taux observé sur 2021-2025)<sup>2</sup>.

Sur la base de ces hypothèses, lasmé-cel pourrait atteindre jusqu'à environ 700 millions de dollars de ventes brutes au pic en 2035 aux États-Unis, l'UE4 et le Royaume-Uni, ce qui correspond à l'ordre de 1100 patients traités par an. En cas d'extension d'indication potentielle en deuxième ligne et en consolidation MRD+ de première ligne, le pic de ventes brutes pourrait augmenter jusqu'à environ 1,3 milliard de dollars. Ces estimations suggèrent que lasmé-cel

---

<sup>2</sup> Les estimations de prix sont données à titre d'exemple uniquement – Cellectis n'a pas encore commencé les discussions ni pris de décision concernant le prix de lasmé-cel.

pourrait contribuer de manière significative à la croissance du marché des CAR-T dans la LAL-B, avec un potentiel de ventes solide et des marges attractives liées à l'approche allogénique.

### **Étude NatHaLi-01 évaluant éti-cel**

Collectis a présenté de nouvelles données préliminaires sur éti-cel (UCART20x22), son produit candidat CAR-T allogénique destiné au traitement du lymphome non hodgkinien (LNH) en rechute ou réfractaire. Ces résultats préliminaires montrent un taux de réponse globale (ORR) encourageant de 86 % et un taux de réponse complète (CR) de 57 % chez les patients traités au niveau de dose actuel (n=7), avec 4 patients sur 7 ayant atteint une réponse complète.

Le taux élevé préliminaire de réponses complètes souligne le potentiel de cette approche innovante à transformer la prise en charge du LNH. En rechute ou réfractaire. Une mise à jour du programme est prévue à la fin de l'année 2025.

### **Partenariat stratégique avec AstraZeneca**

Lors de sa présentation au R&D Day, AstraZeneca a mis en avant l'importance de son investissement stratégique et de sa collaboration de recherche avec Collectis pour accélérer ses ambitions en thérapie cellulaire et en médecine génomique. Ce partenariat s'appuie sur l'expertise de Collectis en édition du génome et sur ses capacités industrielles pour développer jusqu'à 10 nouveaux produits de thérapie cellulaire et génique destinés à des aires à fort besoin médical non couvert, notamment en oncologie, immunologie et maladies génétiques rares.

### **Détails du webcast**

Un enregistrement de l'événement ainsi que les présentations seront publiés sur [le site Internet de Collectis](#).

### **À propos de Collectis**

Collectis est une société de biotechnologie au stade clinique, qui utilise sa plateforme pionnière d'édition de génome pour développer des thérapies cellulaires et géniques innovantes pour le traitement de maladies graves. Collectis développe les premiers produits thérapeutiques d'immunothérapies allogéniques fondées sur des cellules CAR-T, inventant le concept de cellules CAR T ingénierées sur étagère et prêtes à l'emploi pour le traitement de patients atteints de cancer, et une plateforme de développement de thérapies géniques dans d'autres indications thérapeutiques. Grâce à ses capacités de production entièrement internalisées, Collectis est l'une des rares sociétés dans l'édition du génome à contrôler la chaîne de valeur de la thérapie cellulaire et génique de bout en bout.

Le siège social de Collectis est situé à Paris. Collectis est également implantée à New York et à Raleigh aux États-Unis. Collectis est cotée sur le marché Euronext Growth (code : ALCLS) ainsi que sur le Nasdaq Global Market (code : CLLS). Pour en savoir plus, visitez notre site internet : [www.collectis.com](http://www.collectis.com) et suivez Collectis sur [LinkedIn](#) et [X](#).

### **Cautionary Statement**

Ce communiqué de presse contient des déclarations prospectives au sens des lois sur les valeurs mobilières applicables, y compris le Private Securities Litigation Reform Act de 1995. Les déclarations prospectives peuvent être identifiées par des mots tels que « apparaîtrait », « devrait », « envisagé », « estime », « estimé », « indicatif », « peut », « potentiel »,

« potentiellement », « pouvant », « pourrait », « prévu », « prévoit », « positionné », « prévu », « sera », « serait », « suggère » et « utiliseraient », ou la forme négative de ces expressions et d'autres expressions similaires. Ces déclarations prospectives, qui sont basées sur les attentes et les hypothèses actuelles de notre direction et sur les informations dont elle dispose actuellement, comprennent des déclarations concernant les opportunités de marché relatives à lasmé-cel (et les hypothèses sur lesquelles ces déterminations sont fondées, notamment en ce qui concerne les populations ciblées et les prix potentiels), le potentiel des essais cliniques de la Société à devenir une phase d'enregistrement (y compris notamment la phase 2 de l'étude BALLI-01), l'avancement, le calendrier et les progrès des essais cliniques (y compris en ce qui concerne le recrutement et le suivi des patients), le calendrier prévu pour la présentation de nos données, les étapes réglementaires, et le dépôt des demandes réglementaires (y compris, sans limitation, la date de dépôt de la demande d'autorisation de mise sur le marché), la suffisance des liquidités pour financer les opérations, les bénéfices potentiels de nos produits candidats et technologies, et la situation financière de Collectis. Ces déclarations prospectives sont faites à la lumière des informations dont nous disposons actuellement et sont soumises à de nombreux risques et incertitudes, notamment en ce qui concerne les risques importants liés au développement de produits biopharmaceutiques candidats. Parmi ceux-ci figurent les risques importants que les données de phase 1 de BALLI-01 ne soient pas validées par les données issues des phases ultérieures des essais cliniques et que notre produit candidat ne reçoive pas l'autorisation réglementaire pour sa commercialisation. Il convient d'interpréter avec une prudence particulière les résultats des études de phase 1 et les résultats portant sur un petit nombre de patients, car ils ne doivent pas être considérés comme prédictifs des résultats futurs. En outre, de nombreux autres facteurs importants, notamment ceux décrits dans notre rapport annuel sur le formulaire 20-F tel que modifié et dans notre rapport financier annuel (y compris le rapport de gestion) pour l'exercice clos le 31 décembre 2024 et les documents déposés ultérieurement par Collectis auprès de la Securities Exchange Commission, disponibles sur le site web de la SEC à l'adresse [www.sec.gov](http://www.sec.gov), ainsi que d'autres risques et incertitudes connus et inconnus, peuvent avoir un effet défavorable sur ces déclarations prospectives et faire en sorte que nos résultats, performances ou réalisations réels diffèrent sensiblement de ceux exprimés ou sous-entendus dans les déclarations prospectives. Sauf si la loi l'exige, nous n'assumons aucune obligation de mettre à jour publiquement ces déclarations prospectives ou de mettre à jour les raisons pour lesquelles les résultats réels pourraient différer sensiblement de ceux prévus dans les déclarations prospectives, même si de nouvelles informations deviennent disponibles à l'avenir.

**Pour de plus amples informations sur Collectis, veuillez contacter :**

**Contacts média :**

Pascalynne Wilson, Director, Communications, +33 (0)7 76 99 14 33, [media@collectis.com](mailto:media@collectis.com)

Patricia Sosa Navarro, Chief of Staff to the CEO, +33 (0)7 76 77 46 93,

**Contact pour les relations avec les investisseurs :**

Arthur Stril, Chief Financial Officer & Chief Business Officer, [investors@collectis.com](mailto:investors@collectis.com)