

## GenSight Biologics annonce avoir produit un lot GMP de LUMEVOQ® avec succès

- Ce succès valide les corrections implémentées dans le plan de remédiation
- Tous les protocoles ont été suivis avec succès lors de la fabrication du premier lot GMP (*Good Manufacturing Practice*)
- Ce lot pourrait être disponible au 1<sup>er</sup> trimestre 2024 pour une reprise potentielle du programme d'accès précoce et le lancement d'un éventuel nouvel essai clinique, et fournira des données supplémentaires pour la future soumission réglementaire
- Un 2<sup>nd</sup> lot est en cours de production et fournira des doses et des données supplémentaires ; résultats attendus en octobre 2023

**Paris, France, le 18 septembre 2023, 7h30 CEST** – GenSight Biologics (Euronext : SIGHT, ISIN : FR0013183985, éligible PEA-PME), société biopharmaceutique spécialisée dans le développement et la commercialisation de thérapies géniques innovantes pour les maladies neurodégénératives rétiniennes et les troubles du système nerveux central, annonce aujourd'hui que son partenaire de production aux États-Unis a produit avec succès un lot de *Drug Substance* (DS) pour LUMEVOQ®, 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 lot ayant été fabriqué conformément aux protocoles de fabrication GMP, qui sont les normes requises pour les lots commerciaux, la thérapie génique pourra être administrée chez des patients après avoir passé avec succès l'intégralité des tests de contrôle qualité, et dans l'attente de l'accord des organismes de réglementation. La fabrication d'un deuxième lot de DS GMP, qui fournira plus de doses à disposition des patients, est déjà en cours, avec des résultats de titre viral attendus en octobre 2023.

*« Je tiens à féliciter toute l'équipe GenSight, ainsi que notre partenaire de production, pour tout le travail réalisé qui nous a permis de franchir cette étape importante, »* a commenté **Bernard Gilly**, Co-fondateur et Directeur Général de GenSight Biologics. *« Avec cette réalisation, nous confirmons que notre procédé de fabrication robuste peut être mis en œuvre au meilleur niveau de qualité requis par les autorités. LUMEVOQ devrait à nouveau être disponible pour les patients et les médecins début 2024. Ce succès vient également clarifier notre calendrier pour LUMEVOQ, ce qui est une excellente nouvelle pour les patients atteints de NOHL et rendus aveugles par la maladie. »*

GenSight prévoit de produire un minimum de 3 lots GMP en utilisant le procédé de fabrication commercial, mais en dehors du contexte d'une campagne de validation<sup>1</sup>, afin d'acquérir plus de données de production de lots pour renforcer une 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

---

<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 cadre d'une demande d'autorisation de mise sur le marché (AMM) auprès de l'EMA et d'un *Biologics License Application* (BLA) auprès de la FDA.



besoin immédiat de fournir du produit à la fois pour lancer un éventuel nouvel essai clinique, et pour une possible reprise du programme d'accès précoce au T1 2024.

## 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.