

## GenSight Biologics annonce la soumission du dossier LUMEVOQ<sup>®</sup> à l'ANSM pour préparer la reprise du programme d'accès compassionnel en France

- Le dossier actualisé permettra à l'agence de sécurité du médicament d'examiner les demandes individuelles d'accès compassionnel (AAC).
- Les premières injections sont prévues en décembre 2024.

**Paris, France, le 13 novembre 2024, 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 rétinienne et les troubles du système nerveux central, annonce aujourd'hui la soumission du dossier réglementaire actualisé pour la thérapie génique LUMEVOQ<sup>®</sup> à l'Agence Nationale de Sécurité du Médicament et des Produits de Santé (ANSM) pour préparer la reprise du programme d'accès compassionnel (AAC) en France.

Le dossier atteste de la fabrication réussie de LUMEVOQ<sup>®</sup>, comprenant l'opération de mélange de deux lots de *drug substance* conformes aux Bonnes Pratiques de Fabrication (*Good Manufacturing Practice, ou GMP*) afin d'optimiser le nombre de flacons disponibles pour l'usage clinique, ainsi que la réussite de tous les tests de contrôle qualité requis. LUMEVOQ<sup>®</sup> est en cours de développement comme traitement pour la neuropathie optique héréditaire de Leber (NOHL) causée par une mutation du gène mitochondrial *ND4*. Cette maladie mitochondriale rare entraîne une perte de vision brutale et généralement irréversible.

« Avec cette soumission, nous marquons la transition réussie de la fabrication à l'examen réglementaire », a déclaré **Laurence Rodriguez**, Directrice Générale de GenSight Biologics. « Conjointement à la communauté NOHL, nous attendons avec impatience la reprise de l'accès compassionnel de LUMEVOQ d'ici la fin de l'année. »

Le dossier réglementaire mis à jour servira de base à l'évaluation par l'ANSM des demandes individuelles d'accès compassionnel, qui peuvent désormais être adressées par les professionnels de santé dans le cadre des règles du programme français d'accès compassionnel (AAC). GenSight Biologics anticipe une période d'examen de ces demandes et travaillera en étroite collaboration avec l'ANSM afin d'optimiser le calendrier d'évaluation.

GenSight Biologics se prépare à initier l'approvisionnement du médicament au centre de traitement, l'hôpital des Quinze-Vingts à Paris, à la mi-décembre. En parallèle, la société travaille avec les équipes administratives et médicales de l'hôpital pour permettre une planification des premières injections d'ici la fin décembre.

## Contacts

### GenSight Biologics

Directeur administratif et financier

Jan Eryk Umiastowski

[jeumiastowski@gensight-biologics.com](mailto:jeumiastowski@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. Le principal produit candidat de GenSight Biologics, GS010, est en phase III d'essais cliniques dans le traitement de la neuropathie optique héréditaire de Leber (NOHL), une maladie mitochondriale rare qui conduit à la cécité chez les adolescents et les jeunes adultes. 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.

## 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 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.