DOSSIER CANDIDATURE
PARIS SANTE COCHIN
Phase 1 : Présélection

Dossier de Candidature



NOM DE LA SOCIETE : MEIRAGTX CELL THERAPIES

NOM DU DIRIGEANT : RICHARD GIROUX

DOSSIER PRESENTÉ DANS LE CADRE DE :

LA PEPINIERE **X** L'HOTEL **X**

Dossier à adresser au format PDF à l'adresse suivante : pepiniere@parisbiotechsante.org

APPLICATION DU DROIT INDIVIDUEL POUR LE TRAITEMENT INFORMATISE D'INFORMATIONS NOMINATIVES

(art.27 de la loi N° 78-17 du 6 janvier 1978)

Le dossier de candidature est disponible sous format WORD.

La confidentialité est garantie pour toutes les informations transmises, et ce par toutes les parties amenées à lire le présent dossier.

Vous disposez tout au long de cette procédure d'examen de votre dossier et conformément à la loi, d'un droit d'accès et de rectification des informations qui y sont contenues.

Les dossiers non retenus sont détruits, l'ensemble des intervenants demeurant tenu au respect de l'obligation de confidentialité susvisée.

FICHE DE SYNTHESE

NOM DE LA SOCIETE	MEIRAGTX CELL THERAPIES
Adresse du siège social	3 boulevard de Sébastopol – 75001 - Paris
Date de création	28/03/2025
Forme juridique	SASU
Représentant **Nom et fonction dans l'entreprise**	Richard Giroux - Président
Secteur d'activité	Biotechnologies – Recherche et Développement
Produit ou service définition	Thérapies cellulaires et thérapies géniques
Caractère innovant	Oui
Marché	Thérapies cellulaires et thérapies géniques
Composition du capital en % des catégories	Actionnaire unique : Richard Giroux
Effectif actuel	19
Effectif à 4 ans	30
CA 2024 (ou dernier CA connu en précisant l'année)	Aucun
Levées de fonds réalisées depuis la création de la société	2,75 M€
Financements publics obtenus depuis la création de la société	Aucun
Sources de revenus	Financement interco – 12,8M€ jusqu'à fin 2028
Trésorerie au 01/07/26	185 K€
Surfaces demandées	340m²
Collaborations envisagées avec les équipes Cochin	Oui

DOSSIER DE CANDIDATURE

1. COORDONNEES

Société	MEIRAGTX CELL THERAPIES
Nom	PEREIRA
Prénom	QUENTIN
Fonctions occupées	RESPONSABLE ADMINISTRATIF ET FINANCIER
Adresse	3 BOULEVARD DE SEBASTOPOL, 75001 PARIS
Téléphone	06 37 39 07 91
Mail	quentin.pereira@meiragtx.com

❖ SECTEUR D'ACTIVITE

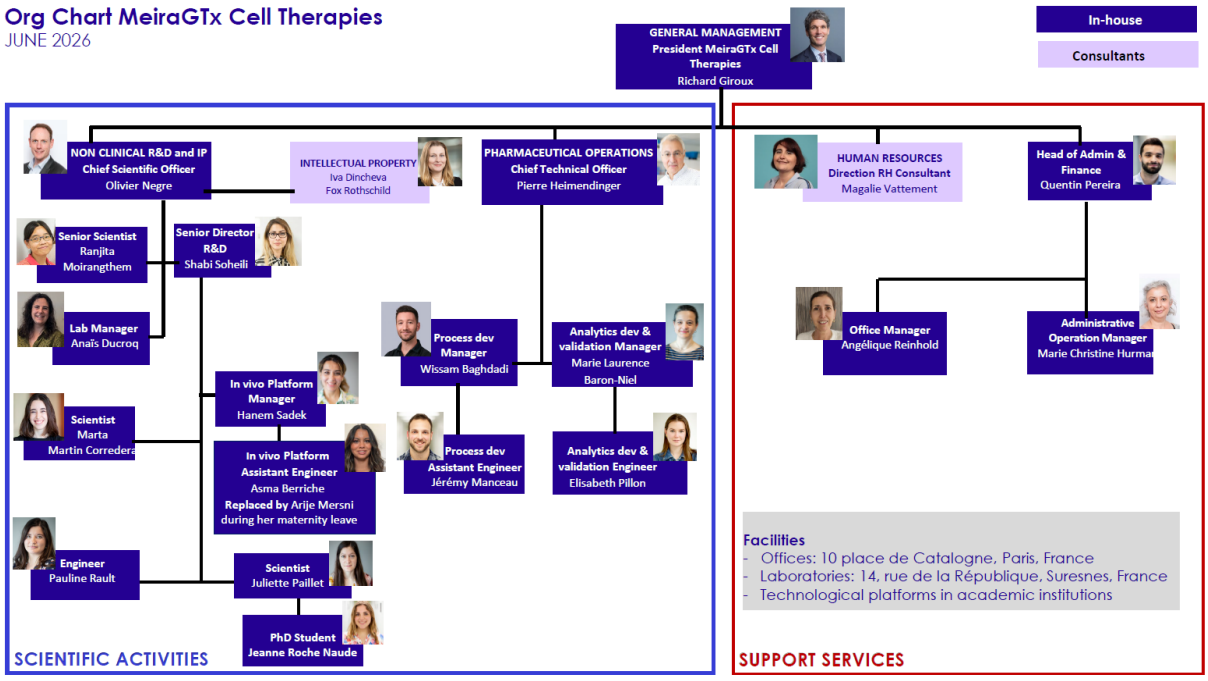
MeiraGTx Cell Therapies est une société de biotechnologie spécialisée dans la recherche, le développement et l'industrialisation de médicaments de thérapie innovante, plus particulièrement dans le domaine des thérapies cellulaires et géniques.
La société développe une plateforme propriétaire d'immunothérapies cellulaires reposant sur des progéniteurs lymphoïdes T, dérivés soit de cellules souches hématopoïétiques, soit de cellules souches pluripotentes induites (iPSC), destinés à générer in vivo des lymphocytes T fonctionnels capables de restaurer ou de moduler la réponse immunitaire.
Les principaux programmes de recherche portent sur le développement de thérapies cellulaires allogéniques prêtes à l'emploi (« off-the-shelf »), intégrant des technologies avancées d'édition génomique, de différenciation cellulaire, de contrôle pharmacologique de l'expression des récepteurs CAR via un système propriétaire du groupe MeiraGTx appelé « Riboswitch ».
Le groupe MeiraGTx couvre l'ensemble de la chaîne de valeur allant de la recherche fondamentale jusqu'au développement préclinique, au développement pharmaceutique et à la production de lots cliniques dans le cadre d'essais cliniques chez l'Homme.

❖ L'EQUIPE

MeiraGTx Cell Therapies réunit une équipe pluridisciplinaire qui bénéficie d'une expertise reconnue dans les domaines des cellules souches hématopoïétiques, des cellules souches pluripotentes induites (iPSC), de l'immunologie, de l'ingénierie cellulaire, de la biologie moléculaire, de la production de biomédicaments et du développement de médicaments de thérapie innovante.

Elle s'appuie également sur les compétences scientifiques et technologiques du groupe MeiraGTx, acteur international reconnu dans le développement de thérapies géniques, permettant d'associer expertise en biologie moléculaire, technologies propriétaires de régulation génique (Riboswitch), développement pharmaceutique et stratégie clinique internationale.

Cette complémentarité constitue un atout majeur pour accélérer le développement de nouvelles générations d'immunothérapies cellulaires innovantes.



❖ STRUCTURE JURIDIQUE DE L'ENTREPRISE et DATE DE CREATION

MeiraGTx Cell Therapies est une société par actions simplifiée unipersonnelle (SASU), créée le 28 mars 2025 afin de porter les activités françaises du groupe MeiraGTx dans le domaine des thérapies cellulaires.

La société a repris les activités de recherche et développement précédemment initiées par la société Smart Immune autour de la plateforme ProTcell, aujourd'hui intégrées dans une

stratégie de développement plus large visant à créer une plateforme industrielle de thérapies cellulaires allogéniques de nouvelle génération.
Son implantation en France permet de renforcer les collaborations avec les acteurs académiques, hospitaliers et industriels de l'écosystème français des biothérapies tout en bénéficiant des ressources scientifiques, technologiques et financières du groupe MeiraGTx.

❖ DECOMPOSITION ACTUELLE DU CAPITAL

Le capital de MeiraGTx Cell Therapies est actuellement détenu par un actionnaire unique. Le capital social est fixé à deux millions sept cent cinquante mille et un euros (2.750.001 €), divisé en deux cent soixante-quinze millions et cent (275.000.100) actions d'un centime d'euro (0,01 €) de nominal chacune, intégralement libérées.

2. DESCRIPTION DU PROJET

❖ ORIGINE DU PROJET :

Le projet porté par MeiraGTx Cell Therapies s'inscrit dans la continuité de plus de dix années de recherche translationnelle consacrées au développement de thérapies cellulaires innovantes destinées à restaurer ou moduler durablement le système immunitaire. Il s'appuie sur les travaux ayant conduit au développement de la plateforme ProTcell, initialement conçue pour accélérer la reconstitution immunitaire chez les patients recevant une greffe allogénique de cellules souches hématopoïétiques.
Ces travaux ont permis de démontrer qu'il était possible de produire ex vivo des progéniteurs lymphoïdes T capables de migrer vers le thymus après administration, d'y poursuivre leur maturation physiologique et de générer des lymphocytes T fonctionnels participant à la reconstitution immunitaire. Cette plateforme a franchi plusieurs étapes majeures de validation scientifique et réglementaire, avec notamment le développement du produit SMART101, actuellement évalué dans un programme clinique, démontrant la faisabilité industrielle et translationnelle de cette approche.
L'acquisition de Smart Immune par le groupe MeiraGTx a permis d'associer cette expertise reconnue en thérapie cellulaire à des technologies propriétaires de régulation génique développées par MeiraGTx, en particulier la technologie Riboswitch permettant le contrôle pharmacologique réversible de l'expression d'un gène thérapeutique.
Cette convergence technologique ouvre la voie à une nouvelle génération d'immunothérapies cellulaires capables d'associer les bénéfices des progéniteurs T, des

cellules souches pluripotentes induites (iPSC), de l'édition génomique et d'une activation contrôlée des fonctions effectrices.

Le projet actuellement développé par MeiraGTx Cell Therapies vise ainsi à créer une plateforme industrielle de cellules RiboCAR-iproT, produites à partir d'iPSC, génétiquement modifiées afin d'exprimer un récepteur antigénique chimérique (CAR) dont l'expression peut être activée ou interrompue de manière réversible grâce au système propriétaire Riboswitch. Cette approche ambitionne de répondre simultanément aux principales limites des thérapies CAR-T actuelles : production individualisée, délais de fabrication, coût élevé, variabilité des produits et difficultés de contrôle des effets indésirables.

Le développement est organisé selon une feuille de route progressive comprenant plusieurs étapes complémentaires :

- validation de la preuve de concept in vitro et in vivo dans plusieurs modèles précliniques représentatifs
- développement des procédés de fabrication et des méthodes analytiques
- mise au point de stratégies d'édition génomique destinées à produire des banques cellulaires universelles compatibles avec un usage allogénique
- développement d'un procédé industrialisable conforme aux exigences des Bonnes Pratiques de Fabrication (BPF/GMP)
- préparation des futurs développements réglementaires et cliniques

Les premières études de preuve de concept sont en cours sur plusieurs indications prioritaires. Ces travaux permettront de démontrer l'efficacité fonctionnelle du système RiboCAR, sa capacité de contrôle pharmacologique ainsi que la pertinence du concept de plateforme pour différentes indications thérapeutiques.

Au-delà du développement d'un produit unique, la stratégie de MeiraGTx Cell Therapies consiste à construire une plateforme technologique modulaire susceptible de générer plusieurs candidats médicaments partageant un même procédé industriel, une même plateforme analytique et des technologies propriétaires communes, favorisant ainsi une accélération du développement clinique futur.

❖ DESCRIPTION DU PRODUIT, SERVICE OU PROCEDE, STADE DE DEVELOPPEMENT A CE JOUR : (1 page)

Le principal produit développé par MeiraGTx Cell Therapies est une nouvelle génération de progéniteurs lymphoïdes T allogéniques dérivés de cellules souches pluripotentes induites (iPSC), génétiquement modifiés afin d'exprimer un récepteur antigénique chimérique (CAR) sous le contrôle d'un système de régulation pharmacologique propriétaire.

Contrairement aux thérapies CAR-T conventionnelles, produites individuellement à partir des lymphocytes du patient, la plateforme développée par MeiraGTx Cell Therapies repose sur la constitution de banques cellulaires universelles capables de produire des médicaments de thérapie innovante immédiatement disponibles pour un grand nombre de patients.

Le procédé comporte plusieurs étapes technologiques complémentaires :

- reprogrammation et sélection de cellules iPSC ;
- édition génomique destinée à optimiser leur compatibilité immunologique ;
- insertion contrôlée du système RiboCAR ;
- différenciation progressive vers des cellules souches hématopoïétiques puis vers des progéniteurs lymphoïdes T ;
- développement des procédés de fabrication, des contrôles qualité et des méthodes analytiques nécessaires à une future production clinique.

Après administration, ces progéniteurs migrent physiologiquement vers le thymus où ils poursuivent leur maturation avant de générer des lymphocytes T fonctionnels exprimant le CAR uniquement après activation pharmacologique du système Riboswitch. Cette régulation constitue un élément différenciant majeur puisqu'elle permet théoriquement d'ajuster l'activité thérapeutique du médicament en fonction de la situation clinique du patient.

Les applications thérapeutiques visées concernent dans un premier temps les leucémies et lymphomes B, certaines maladies auto-immunes impliquant les lymphocytes B, puis plusieurs indications en oncologie des tumeurs solides.

Le projet se situe aujourd'hui à un stade avancé de recherche préclinique. Les développements portent simultanément sur la validation biologique du concept, la démonstration d'efficacité dans plusieurs modèles animaux, l'optimisation des procédés de fabrication, la mise au point des méthodes analytiques ainsi que la préparation de la montée en échelle industrielle nécessaire aux futurs développements cliniques.

Cette stratégie permet d'anticiper très tôt les contraintes industrielles et réglementaires afin de limiter les ruptures technologiques entre les phases de recherche, de développement pharmaceutique et de production clinique.

❖ **CARACTERE INNOVANT** (20 lignes)

L'innovation développée par MeiraGTx Cell Therapies repose sur la combinaison de plusieurs technologies de rupture rarement réunies au sein d'une même plateforme thérapeutique.

La première innovation concerne l'utilisation de progéniteurs lymphoïdes T dérivés de cellules souches pluripotentes induites (iPSC), permettant la constitution de banques

cellulaires universelles destinées à produire des médicaments prêts à l'emploi, indépendamment des cellules du patient. Cette approche ouvre la voie à une industrialisation des thérapies cellulaires, réduisant significativement les délais de production, les coûts de fabrication et la variabilité entre lots.

La seconde innovation réside dans l'intégration d'un système propriétaire de régulation génique par Riboswitch, permettant un contrôle pharmacologique réversible de l'expression du récepteur CAR. Contrairement aux approches conventionnelles dans lesquelles le CAR est exprimé de manière permanente, cette technologie offre la possibilité d'activer ou de moduler la fonction thérapeutique. Cette capacité de régulation constitue un levier majeur pour améliorer simultanément l'efficacité thérapeutique et la sécurité d'emploi des immunothérapies cellulaires.

Le projet intègre également des technologies avancées d'édition génomique visant à améliorer la compatibilité immunologique des cellules allogéniques, ainsi que le développement de procédés industriels compatibles avec une production selon les Bonnes Pratiques de Fabrication.

Enfin, la plateforme a été conçue dès son origine comme une technologie modulaire susceptible d'être adaptée à différentes cibles antigéniques et à plusieurs indications thérapeutiques, offrant ainsi un potentiel de développement bien au-delà d'un seul produit.

❖ **PROPRIETE INDUSTRIELLE** (20 lignes)

La stratégie de propriété intellectuelle de MeiraGTx Cell Therapies constitue un élément central de sa compétitivité. La société bénéficie de l'ensemble des actifs de propriété intellectuelle développés au sein du groupe MeiraGTx ainsi que des innovations issues des travaux antérieurement réalisés autour de la plateforme ProTcell (eux-mêmes issus des brevets issus des institutions publiques : APHP / INSERM / UPC / Institut Imagine).

Le portefeuille technologique couvre notamment les procédés de génération des progéniteurs lymphoïdes T, les technologies de différenciation cellulaire, plusieurs inventions relatives à la régénération thymique, la constitution de banques cellulaires compatibles avec une utilisation allogénique, ainsi que différentes méthodes de production et de contrôle qualité des produits de thérapie innovante.

À ces actifs s'ajoutent les technologies propriétaires de régulation génique développées par le groupe MeiraGTx, en particulier le système Riboswitch permettant un contrôle pharmacologique de l'expression génique, qui constitue un avantage concurrentiel majeur de la plateforme RiboCAR-iproT.

L'ensemble de cette stratégie vise à protéger durablement les innovations développées, à sécuriser les futurs développements industriels et cliniques, et à renforcer la valeur technologique de la société dans un secteur fortement concurrentiel.

3. PLAN DE DEVELOPPEMENT À 3 ANS

Le développement de MeiraGTx Cell Therapies s'inscrit dans une stratégie progressive visant à faire évoluer une plateforme de recherche innovante vers une plateforme industrielle de production de médicaments de thérapie innovante répondant aux exigences réglementaires internationales.

Au cours des trois prochaines années, la société poursuivra simultanément plusieurs axes de développement complémentaires : la validation scientifique de ses candidats médicaments, l'industrialisation des procédés de fabrication, la préparation réglementaire des futurs essais cliniques et le renforcement de ses partenariats académiques et industriels.

L'objectif est de disposer, à l'issue de cette période, d'une plateforme robuste permettant l'entrée en développement clinique de plusieurs candidats issus d'une même technologie propriétaire.

Axe 1 – Validation préclinique des candidats thérapeutiques

Les travaux de recherche porteront prioritairement sur la démonstration de l'efficacité, de la sécurité et de la reproductibilité des cellules RiboCAR-iproT dans différents modèles précliniques représentatifs des indications thérapeutiques ciblées.

Les études auront notamment pour objectif :

- de confirmer la fonctionnalité des cellules après différenciation in vitro
- de démontrer leur capacité de migration et de maturation physiologique après administration
- de caractériser le contrôle pharmacologique de l'expression du CAR via le système Riboswitch
- d'évaluer la persistance cellulaire et l'activité antitumorale dans plusieurs modèles animaux
- de documenter le profil de sécurité de cette nouvelle approche thérapeutique

Ces études permettront de sélectionner les premiers candidats destinés au développement réglementaire.

Axe 2 – Industrialisation de la plateforme

L'un des enjeux majeurs du projet consiste à transformer un procédé de laboratoire en un procédé industriel reproductible, robuste et conforme aux exigences des Bonnes Pratiques de Fabrication

Les travaux concerneront notamment :

- l'optimisation des banques cellulaires maîtresses d'iPSC
- l'amélioration des rendements de différenciation
- la standardisation des procédés de culture cellulaire
- la montée en échelle des procédés de production
- le développement des contrôles qualité
- la validation des méthodes analytiques critiques
- l'automatisation progressive de certaines étapes de fabrication

Axe 3 – Développement réglementaire

Parallèlement aux développements scientifiques, MeiraGTx Cell Therapies préparera l'ensemble des éléments nécessaires aux futures interactions avec les autorités réglementaires françaises et européennes.

Les principaux objectifs seront :

- la consolidation du package préclinique
- la définition de la stratégie CMC (Chemistry, Manufacturing and Controls)
- la constitution de la documentation qualité
- la préparation des futurs dossiers réglementaires
- l'anticipation des exigences relatives aux Médicaments de Thérapie Innovante

Axe 4 – Développement clinique

À moyen terme, la société prévoit d'engager les premières études cliniques portant sur ses candidats thérapeutiques les plus avancés.

Les premières indications concernent principalement :

- les hémopathies malignes B
- les déficits immunitaires nécessitant une reconstitution rapide du compartiment lymphocytaire
- certaines maladies auto-immunes
- plusieurs indications en oncologie solide

La plateforme ayant été conçue comme une technologie modulaire, l'élargissement vers d'autres cibles thérapeutiques pourra être réalisé avec un temps de développement réduit.

Axe 5 – Développement des partenariats

La stratégie de croissance de MeiraGTx Cell Therapies repose également sur le renforcement de collaborations avec des acteurs académiques, hospitaliers, industriels et institutionnels.

La société souhaite notamment développer :

- des partenariats avec des plateformes technologiques spécialisées en thérapie cellulaire
- des collaborations avec des centres hospitaliers universitaires pour la préparation des futurs essais cliniques
- des partenariats industriels pour certaines activités de développement pharmaceutique et de production GMP

Ces collaborations permettront d'accélérer la maturation des programmes tout en renforçant leur visibilité scientifique.

PRINCIPAUX OBJECTIFS À TROIS ANS

- Validation complète de la plateforme RiboCAR-iproT dans plusieurs modèles précliniques pertinents
- Finalisation d'un procédé de fabrication compatible BPF/GMP

- Constitution de banques cellulaires cliniques d'iPSC
- Validation des méthodes analytiques et des contrôles qualité
- Renforcement du portefeuille de propriété intellectuelle
- Développement de nouvelles collaborations académiques et hospitalières
- Préparation des premiers dossiers réglementaires en vue d'essais cliniques

4. ETUDE DU MARCHE

❖ TAILLE ACTUELLE DU MARCHE ET TENDANCE (1 page)

Analyse du marché

Le marché mondial des thérapies cellulaires et géniques connaît depuis plusieurs années une croissance particulièrement soutenue, portée par les progrès de l'immunologie, de la biologie des cellules souches, de l'édition génomique et de la médecine personnalisée. Les avancées réalisées dans le traitement des cancers hématologiques grâce aux thérapies CAR-T ont démontré le potentiel de ces approches pour transformer durablement la prise en charge de pathologies jusqu'alors associées à un pronostic défavorable.
Malgré ces succès, les traitements actuellement commercialisés reposent essentiellement sur des approches autologues nécessitant un prélèvement des lymphocytes du patient, une fabrication individualisée complexe, des délais de production de plusieurs semaines et des coûts de fabrication particulièrement élevés. Ces contraintes limitent leur accessibilité, leur diffusion à grande échelle et leur utilisation dans certaines situations cliniques nécessitant une prise en charge rapide.
Le développement de thérapies cellulaires allogéniques « off-the-shelf » constitue aujourd'hui l'une des principales évolutions attendues du secteur. Ces nouvelles approches visent à produire des médicaments immédiatement disponibles, standardisés et industrialisables, capables d'être administrés à un grand nombre de patients à partir d'une même banque cellulaire. Cette évolution est considérée par de nombreux acteurs comme une étape essentielle vers une démocratisation des immunothérapies cellulaires.
Parallèlement, les besoins médicaux restent considérables dans de nombreuses indications, notamment les hémopathies malignes, les déficits immunitaires, certaines

maladies auto-immunes sévères ainsi que les tumeurs solides, pour lesquelles les traitements actuels demeurent insuffisants ou inadaptés.
Dans ce contexte, les technologies développées par MeiraGTx Cell Therapies répondent à plusieurs enjeux majeurs du marché : amélioration de l'accessibilité des traitements, réduction des coûts de production, sécurisation des procédés industriels, contrôle renforcé de l'activité thérapeutique et développement de plateformes modulaires adaptées à plusieurs indications.

Besoin médical non couvert

Malgré les progrès importants réalisés au cours de la dernière décennie, de nombreux patients restent aujourd'hui exclus des bénéfices des thérapies cellulaires.
Les principales limites des approches actuellement disponibles concernent :

- la dépendance à la qualité des cellules prélevées chez le patient, souvent altérées par les traitements antérieurs
- les délais de fabrication incompatibles avec certaines situations d'urgence thérapeutique
- les coûts très élevés liés à une production individualisée
- la variabilité entre les lots fabriqués
- les risques de syndrome de relargage cytokinique et de neurotoxicité associés à une activation permanente des cellules CAR-T
- les difficultés de montée en échelle industrielle

La plateforme développée par MeiraGTx Cell Therapies apporte une réponse à chacun de ces défis grâce à une approche combinant banques cellulaires universelles, industrialisation des procédés et contrôle pharmacologique de l'activité des cellules thérapeutiques.

❖ **DEFINITION DU ou DES MARCHES CIBLE** (15 lignes)

À court terme, les futurs utilisateurs des produits développés par MeiraGTx Cell Therapies seront principalement :

- les centres hospitaliers universitaires spécialisés en hématologie et en oncologie
- les centres experts en greffe de cellules souches hématopoïétiques
- les établissements autorisés à administrer des Médicaments de Thérapie Innovante
- les plateformes hospitalières de thérapie cellulaire

À moyen terme, les partenaires commerciaux pourront également inclure :

- des laboratoires pharmaceutiques développant des immunothérapies

• des sociétés de biotechnologie souhaitant intégrer la plateforme RiboCAR à leurs propres programmes

• des partenaires industriels dans le cadre d'accords de licence ou de co-développement

Cette stratégie permettra de valoriser la plateforme à travers plusieurs modèles économiques complémentaires.

❖ ETUDE DE LA CONCURRENCE

Le secteur des thérapies cellulaires est caractérisé par une forte dynamique d'innovation et par la présence d'acteurs académiques, de biotechnologies spécialisées et de grands groupes pharmaceutiques.

Les thérapies CAR-T actuellement commercialisées, telles que celles développées par Gilead Sciences, Bristol Myers Squibb ou Novartis, ont démontré l'intérêt clinique de l'immunothérapie cellulaire mais reposent principalement sur des procédés autologues individualisés.

En parallèle, plusieurs entreprises développent actuellement des approches allogéniques fondées sur différentes stratégies technologiques : cellules T modifiées, cellules NK, cellules iPSC ou ingénierie génomique avancée.

La stratégie de MeiraGTx Cell Therapies se distingue toutefois par la combinaison originale de plusieurs briques technologiques rarement réunies :

• plateforme ProTcell® validée sur le plan translationnel

• utilisation de progéniteurs T plutôt que de lymphocytes T matures

• production à partir de cellules iPSC

• technologie propriétaire de contrôle pharmacologique Riboswitch

• plateforme industrielle modulaire permettant le développement de plusieurs produits

Cette combinaison constitue une différenciation forte dans un secteur très concurrentiel.

Avantages concurrentiels

Les principaux avantages compétitifs de MeiraGTx Cell Therapies reposent sur :

- **Une plateforme "off-the-shelf" industrialisable** : La constitution de banques cellulaires universelles permet d'envisager une fabrication standardisée, reproductible et compatible avec une diffusion internationale.

- **Un contrôle inédit de l'activité thérapeutique** : La technologie Riboswitch offre un contrôle pharmacologique réversible de l'expression du CAR, susceptible de réduire les effets indésirables tout en maintenant l'efficacité thérapeutique.

- **Une plateforme multi-indications** : La technologie développée n'est pas limitée à une seule cible antigénique. Elle pourra être adaptée à différents récepteurs CAR et à plusieurs indications cliniques.
- **Une expertise scientifique reconnue** : Le projet s'appuie sur plusieurs années de recherche académique et translationnelle, complétées par l'expertise internationale du groupe MeiraGTx dans le développement de thérapies innovantes.
- **Une stratégie industrielle intégrée** : Contrairement à de nombreux projets académiques, l'industrialisation, la qualité, la production GMP et les exigences réglementaires sont prises en compte dès les premières phases de développement.

❖ POSITIONNEMENT DU OU DES PRODUITS, SERVICES OU PROCEDE ET AVANTAGES CONCURRENTIELS (15 lignes)

MeiraGTx Cell Therapies se positionne comme une société de biotechnologie développant une plateforme de nouvelle génération de thérapies cellulaires allogéniques, à l'interface entre l'immunologie, les cellules souches, la thérapie génique et l'ingénierie cellulaire.
L'ambition de la société n'est pas de développer un produit unique, mais une plateforme technologique capable de générer plusieurs candidats médicaments partageant une même base scientifique, industrielle et réglementaire.
Cette stratégie permettra de mutualiser les développements, de réduire les coûts, d'accélérer les futurs programmes cliniques et de renforcer durablement la valeur de l'entreprise.
L'implantation au sein de la Pépinière Paris Santé Cochin s'inscrit pleinement dans cette stratégie. Elle offrira un environnement scientifique de premier plan, favorisant les collaborations avec les équipes de recherche et les cliniciens du campus, l'accès à des plateformes technologiques de haut niveau et l'intégration dans un écosystème reconnu pour l'innovation biomédicale. Cette proximité constituera un levier majeur pour accélérer la maturation des programmes de recherche, préparer les futurs essais cliniques et renforcer la visibilité nationale et internationale de la société.

5. ETUDE COMMERCIALE OU MODELE ECONOMIQUE (3 ans)

❖ MODELE ECONOMIQUE ACTUEL ET ENVISAGE (20 lignes)

MeiraGTx Cell Therapies développe un modèle économique fondé sur la valorisation d'une plateforme technologique propriétaire de thérapie cellulaire de nouvelle génération. La société ambitionne de créer durablement de la valeur en développant plusieurs candidats

médicaments issus d'une même plateforme scientifique, industrielle et réglementaire, permettant de mutualiser les investissements de recherche et développement et d'accélérer le développement de nouvelles indications thérapeutiques.
À court terme, les activités de la société sont principalement centrées sur la recherche et développement, l'optimisation des procédés de fabrication, la constitution d'un portefeuille de propriété intellectuelle et la préparation des futurs développements cliniques.
À moyen terme, le modèle économique reposera sur une combinaison de plusieurs sources de revenus complémentaires :

- développement de candidats propriétaires jusqu'à des étapes avancées de développement clinique
- conclusion d'accords de licence avec des partenaires pharmaceutiques internationaux
- partenariats de co-développement sur certaines indications thérapeutiques
- valorisation de la plateforme technologique auprès d'acteurs industriels souhaitant développer leurs propres immunothérapies cellulaires
- collaborations de recherche avec des partenaires académiques et industriels

Cette stratégie permet de diversifier les sources de création de valeur tout en limitant les risques associés au développement d'un candidat médicament unique.

❖ ACTIONS COMMERCIALES ET TYPE DE CLIENTS (20 lignes)

La stratégie de développement de MeiraGTx Cell Therapies repose sur la construction progressive d'une plateforme de référence dans le domaine des thérapies cellulaires allogéniques.
L'objectif n'est pas uniquement de développer un premier médicament innovant, mais de disposer d'une technologie capable de générer rapidement de nouveaux candidats thérapeutiques répondant à différents besoins médicaux.
Cette approche de plateforme présente plusieurs avantages :

- mutualisation des développements scientifiques
- standardisation des procédés industriels
- réduction des coûts de développement
- accélération des futurs programmes cliniques
- valorisation durable de la propriété intellectuelle

À mesure de l'avancement des programmes, la société envisage différentes modalités de création de valeur, incluant des accords de licence, des partenariats stratégiques, des co-développements ou, pour certains candidats, une poursuite du développement clinique jusqu'à des phases avancées avant partenariat.

❖ OBJECTIFS COMMERCIAUX (part de marché et son évolution)

Compte tenu de la nature des produits développés, la stratégie commerciale est principalement orientée vers un marché B2B.

Les principaux interlocuteurs de la société seront :

- les laboratoires pharmaceutiques spécialisés en oncologie et immunologie
- les sociétés développant des médicaments de thérapie innovante
- les centres hospitaliers universitaires impliqués dans les essais cliniques
- les organismes publics et privés soutenant l'innovation en santé

La commercialisation directe des produits n'interviendra qu'à un stade ultérieur du développement clinique. Dans un premier temps, la société privilégiera la mise en place de collaborations stratégiques permettant d'accélérer le développement des programmes tout en bénéficiant de l'expertise réglementaire, clinique et commerciale de partenaires internationaux.

❖ TABLEAU DE FINANCEMENT SUR 3 ANS

Budget 26-27	Q1 26	Q2 26	Q3 26	Q4 26	2026 FY	Q1 27	Q2 27	Q3 27	Q4 27	2027 FY
Payroll - all staff	550 397	469 629	481 362	633 235	2 134 623	500 878	449 494	449 494	594 962	1 994 829
R&D	133 700	199 000	125 500	106 000	564 200	287 500	188 000	119 500	138 000	733 000
CMC	123 668	108 382	81 168	77 268	390 486	167 168	108 382	96 168	99 268	470 986
G&A	152 918	159 468	123 968	125 468	561 823	231 500	198 500	163 500	163 500	757 000
Loan mother entity	-	-	-	350 000	350 000	-	-	-	-	-
TOTAL	**960 683**	**936 479**	**811 999**	**1 291 971**	**4 001 132**	**1 187 046**	**944 376**	**828 662**	**995 730**	**3 955 815**
Cash start			185 308	773 309		881 338	694 292	749 916	921 253	
*Funding from mother entity**			1 400 000	1 400 000		1 000 000	1 000 000	1 000 000	1 000 000	
Cash end		185 308	773 309	881 338		694 292	749 916	921 253	925 523	

** A la reprise d'une partie des assets de la société Smart Immune par le groupe MeiraGTx, ce dernier s'est engagé à financer la société à minima jusqu'à fin 2028 à hauteur de 12,8M€ au total. A fin juin 2026 : 2,75M€ ont déjà été investis dans la nouvelle entité juridique MeiraGTx Cell Therapies (créée spécifiquement pour cette cession d'actifs et regroupant les anciens salariés de Smart Immune).*

❖ PARTENARIATS ENVISAGÉS

Une collaboration a été reconduite avec l'animalerie de Cochin à la suite de la cession de Smart Immune au profit du groupe Meira à l'été 2025.

Type	Organisme	Modalités
Contrat d'hébergement	INSERM	Animalerie Cochin
Partenariat public-privé	CEA	Thèse CIFRE
Prestations CRO	Institut Imagine	Etudes in-vivo chez les souris

6. BESOINS POUR LA PEPINIERE ou HOTEL D'ENTREPRISE

CAHIER DES CHARGES :

Nombre de m2 souhaités par typologie de locaux	**340m² :** **- 40m² L2** **- 140m² L1** **- 160m² bureaux**
Bureaux	**160m² bureaux** **Croissance de 19 à 30 postes sur 4 ans** **Salles de réunions**
Laboratoires L1 avec Sorbonne/sans Sorbonne	**140m² en deux lots** **Deux L1 avec ou sans sorbonne (la société en possède actuellement)**
Laboratoires L2	**Deux L2 (14,45 m² et 24,10 m²)**
Utilisez-vous de l'azote liquide ?	**Oui**
Nombre de tanks azote nécessaires	**1**
Nombre de frigos, - 80	**2**
Besoins en laverie	**Oui**
Nombre de postes de travail nécessaires en 2026/2027/2028/2029	**19 – 23 – 26 – 30**
Autres besoins spécifiques	**CO2** **Frigo -150°**

BESOIN D'ACCOMPAGNEMENT du DEVELOPPEMENT DE VOTRE ENTREPRISE :

Pour quel type d'actions ?

L'intégration de MeiraGTx Cell Therapies au sein de la Pépinière Paris Santé Cochin répond à une volonté stratégique d'inscrire durablement le développement de la société au cœur de l'un des principaux écosystèmes français de recherche biomédicale et de médecine translationnelle.

Les programmes développés par la société se situent à l'interface entre l'immunologie, l'hématologie, la thérapie cellulaire, la thérapie génique, les cellules souches et le

développement pharmaceutique. Leur maturation nécessite des interactions étroites entre chercheurs, cliniciens, biologistes, ingénieurs et experts réglementaires.
Le campus Paris Santé Cochin réunit précisément cet environnement multidisciplinaire en favorisant les échanges entre recherche fondamentale, recherche translationnelle et développement clinique. Cette proximité constitue un facteur déterminant pour accélérer la validation scientifique des programmes, préparer les futurs développements cliniques et renforcer les collaborations avec les équipes académiques et hospitalières.
Au-delà de la mise à disposition de locaux adaptés, la société recherche un environnement d'innovation favorisant les échanges quotidiens avec d'autres entreprises de biotechnologie, les plateformes technologiques, les laboratoires de recherche et les établissements hospitaliers.
L'intégration au sein de la pépinière permettra également de renforcer la visibilité scientifique de MeiraGTx Cell Therapies et d'accélérer son insertion dans les réseaux nationaux et internationaux de l'innovation en santé.

Que cherchez-vous en venant vous installer à la pépinière ?

Au-delà des infrastructures, MeiraGTx Cell Therapies souhaite bénéficier d'un environnement d'accompagnement favorisant l'accélération de ses développements.
Les attentes concernent notamment :

- la mise en relation avec les équipes hospitalo-universitaires du campus
- l'identification d'opportunités de collaborations scientifiques
- l'accès aux plateformes technologiques mutualisées
- l'accompagnement dans le montage de projets collaboratifs nationaux et européens
- l'intégration dans les réseaux d'innovation en santé franciliens
- la participation aux événements scientifiques, entrepreneuriaux et institutionnels organisés sur le campus

La société souhaite également bénéficier des échanges avec les autres entreprises hébergées afin de favoriser les synergies technologiques, les retours d'expérience et les opportunités de partenariat.
Les activités de MeiraGTx Cell Therapies présentent de nombreuses complémentarités avec les thématiques développées au sein du campus Paris Santé Cochin.
La société souhaite développer des collaborations avec des équipes spécialisées notamment dans :

- l'immunologie fondamentale et translationnelle
- l'hématologie
- l'onco-hématologie
- les cellules souches

- la médecine régénérative
- la thérapie génique

Ces collaborations pourront concerner la validation préclinique de nouveaux candidats thérapeutiques, le développement de biomarqueurs, l'étude des mécanismes immunologiques, la préparation des essais cliniques ainsi que la participation à des projets collaboratifs nationaux ou européens. La proximité géographique favorisera également les échanges réguliers entre chercheurs académiques et équipes industrielles, élément essentiel au développement de projets translationnels.

Comment envisageriez-vous de participer à la vie du réseau des entreprises qui sont ou s'installeront dans la pépinière ?

MeiraGTx Cell Therapies souhaite être un acteur pleinement impliqué dans la dynamique scientifique et entrepreneuriale de Paris Santé Cochin. L'entreprise prévoit de contribuer activement à la vie de la pépinière à travers :

- la participation aux séminaires scientifiques
- l'organisation de présentations de ses travaux de recherche
- l'accueil de stagiaires, doctorants et post-doctorants
- la participation à des projets collaboratifs avec les autres entreprises hébergées
- l'implication dans les actions de diffusion de la culture scientifique et de l'innovation

La société considère que la richesse d'un écosystème d'innovation repose autant sur la qualité de ses infrastructures que sur les interactions entre ses différents acteurs. Elle souhaite ainsi contribuer au développement d'un environnement collaboratif favorisant l'émergence de nouvelles approches thérapeutiques et le renforcement de la filière française des biothérapies.

L'implantation de MeiraGTx Cell Therapies représente une opportunité de renforcer les compétences du campus dans le domaine stratégique des médicaments de thérapie innovante.

La société développe des technologies de rupture combinant immunologie, thérapie cellulaire, cellules souches pluripotentes, édition génomique et biologie synthétique, qui viennent compléter les expertises déjà présentes au sein de l'écosystème.

Son appartenance au groupe international MeiraGTx constitue également un atout pour accroître la visibilité internationale du campus et favoriser le développement de collaborations avec des partenaires académiques et industriels étrangers.

Accepteriez-vous une mission de mentoring ? **X** oui □ non

ELEMENTS FINANCIERS ET PIECES A JOINDRE AU DOSSIER

- BILAN, COMPTE DE RESULTAT et les annexes des deux derniers exercices écoulés
- PLAN DE TRESORERIE prévisionnel sur 1 an
- BUDGET PREVISIONNEL global de la structure pour 2026 et 2027
- EXTRAIT DE Kbis de moins de 3 mois ou Statuts en vigueur de la structure, datés et signés
- Photocopie de la pièce d'identité du responsable de la structure
- Coordonnées de la personne signataire : mail et portable
- Relevé d'Identité bancaire ou postal établi au nom de la structure
- Si locataire de bureaux ou locaux, les 3 dernières quittances de loyer