

GenSight Biologics annonce l'approbation réglementaire de l'étude « dose-ranging » REVISE de GS010/LUMEVOQ® en France

- L'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM) et le comité d'éthique autorisent l'étude « dose-ranging », évaluant deux doses du produit candidat pour le traitement de la NOHL liée à la mutation *ND4* ;
- L'approbation du protocole d'étude soutiendra l'examen en cours de la demande du programme d'accès compassionnel en France ;
- L'étude de Phase II devrait débuter en janvier 2026.

Paris (France), le 2 décembre 2025, 17h00 CET – GenSight Biologics (Euronext : SIGHT, ISIN : FR0013183985, éligible PEA-PME), une société biopharmaceutique spécialisée dans le développement et la commercialisation de thérapies géniques innovantes pour les maladies neurodégénératives de la rétine et les troubles du système nerveux central, annonce aujourd'hui que l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM) a autorisé l'étude « dose-ranging » REVISE, qui évaluera l'efficacité et la tolérance de deux doses cliniques de la thérapie génique candidate de la Société, GS010/LUMEVOQ®.

Cette étude avait été demandée par l'Agence dans le cadre des échanges avec la Société concernant un programme d'accès compassionnel français pour ce candidat médicament, actuellement en développement clinique pour le traitement de la perte de vision liée à la Neuropathie Optique Héréditaire de Leber (NOHL) due à une mutation du gène mitochondrial *ND4*.¹ L'approbation réglementaire a été accordée à la suite de l'évaluation du dossier qualité de GS010/LUMEVOQ® et des aspects cliniques de REVISE par l'ANSM. Le comité d'éthique a également approuvé cette étude. L'approbation réglementaire de REVISE soutiendra l'examen en cours de la demande de GenSight Biologics relative au programme d'accès compassionnel français par l'ANSM.

REVISE est une étude de Phase II, ouverte et monocentrique, visant à recruter 14 patients. Les patients devront présenter une mutation confirmée du gène *ND4* et une perte de vision comprise entre 6 mois et 1,5 an à la date du traitement. Deux (2) doses cliniques seront évaluées dans l'essai, les patients étant répartis de manière égale entre les deux niveaux de dose. Le critère d'évaluation principal de l'étude REVISE est l'efficacité, mesurée par le changement de l'acuité visuelle (Best Corrected Visual Acuity, BCVA) 1,5 an après le traitement par rapport à la valeur initiale. L'étude devrait débuter en janvier 2026.

La Société se prépare à ses priorités stratégiques pour 2026

Alors que la demande d'un accès compassionnel en France est en cours d'examen, GenSight Biologics poursuit, conformément au calendrier prévu, les dernières étapes du transfert de technologie vers son nouveau partenaire de fabrication, ainsi que les préparatifs visant à finaliser le protocole de l'étude de Phase III.

En parallèle, la Société étudie des opportunités d'octroi de licences (out-licensing) pour GS010 sur des marchés en dehors des États-Unis et de l'Europe, tout en explorant des programmes d'accès compassionnel payants à l'échelle mondiale.

¹ GS010/LUMEVOQ®. n'a reçu d'autorisation de mise sur le marché dans aucun pays et n'est pas disponible commercialement.

À propos de la Neuropathie Optique Héréditaire de Leber (NOHL)

La Neuropathie Optique Héréditaire de Leber (NOHL) est une maladie mitochondriale rare, transmise par la mère, caractérisée par la dégénérescence des cellules ganglionnaires rétinienne. Elle provoque une perte de vision brutale et généralement irréversible, évoluant le plus souvent vers la cécité légale. Parmi les mutations en cause, la mutation mitochondriale *ND4* est la plus fréquente et est associée au plus mauvais pronostic.

Contacts

GenSight Biologics

Directeur Administratif et Financier

Jan Eryk Umiastowski

jeumiastowski@gensight-biologics.com

À propos de GenSight Biologics

GenSight Biologics S.A. est une société biopharmaceutique en phase clinique, spécialisée dans le développement et la commercialisation de thérapies géniques innovantes pour les maladies neurodégénératives de la rétine et les troubles du système nerveux central. Le portefeuille de GenSight Biologics repose sur deux plateformes technologiques clés : le Mitochondrial Targeting Sequence (MTS) et l'optogénétique, visant à préserver ou restaurer la vision des patients atteints de maladies rétinienne cécitantes. Le principal candidat médicament de la Société, GS010 (lenadogene nolparvovec), est en Phase III pour le traitement de la neuropathie optique héréditaire de Leber (NOHL), une maladie mitochondriale rare qui provoque une cécité irréversible chez les adolescents et les jeunes adultes. GS010 est actuellement en cours de développement clinique et n'a pas encore obtenu d'autorisation de mise sur le marché en France ni dans aucun autre pays. Il n'est donc pas disponible dans le commerce. Grâce à son approche fondée sur la thérapie génique, les candidats de GenSight Biologics sont conçus pour être administrés en injection intravitréenne unique par œil, afin d'offrir aux patients une récupération visuelle fonctionnelle durable.

À propos de GS010/LUMEVOQ® (lenadogene nolparvovec)

GS010/LUMEVOQ® (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. GS010/LUMEVOQ® (lenadogene nolparvovec) est actuellement en phase III de développement clinique. Il n'a été enregistré ni autorisé dans aucun pays à ce jour et n'est pas disponible commercialement.