

## GenSight Biologics annonce la publication d'une comparaison indirecte ajustée par appariement des traitements de la neuropathie optique héréditaire de Leber

**Paris, France, le 11 mai 2026, 18h30 CEST** – GenSight Biologics (Euronext : SIGHT, ISIN : FR0013183985, éligible PEA-PME), 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, annonce aujourd'hui la publication d'une comparaison indirecte ajustée par appariement (Matching Adjusted Indirect Comparison, MAIC) des résultats issus des essais cliniques de GS010/LUMEVOQ®, le produit candidat de thérapie génique de la Société pour le traitement de la neuropathie optique héréditaire de Leber (NOHL) liée à une mutation du gène mitochondrial *ND4*,<sup>1</sup> et de l'idébénone, seul traitement approuvé dans la NOHL. L'étude a été publiée dans le numéro d'avril 2026 de la revue *British Journal of Ophthalmology*.

L'article complet, intitulé « *Efficacy of lenadogene nolparvovec gene therapy versus idebenone in Leber hereditary optic neuropathy due to the m.11778G>A MT- ND4 variant: two matching adjusted indirect comparisons* », est disponible en ligne via [ce lien](#).

### Contact

#### GenSight Biologics

Directeur Administratif et Financier

Jan Eryk Umiastowski

[jeumiastowski@gensight-biologics.com](mailto:jeumiastowski@gensight-biologics.com)

### À propos de GenSight Biologics

GenSight Biologics S.A. est une société biopharmaceutique en phase clinique, spécialisée dans la découverte et le développement 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, est en Phase III dans 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. GS030, en essai clinique de Phase I/II, est un traitement par optogénétique évalué comme traitement indépendant de la mutation pour la rétinite pigmentaire au stade avancé, première cause de cécité dans le monde. 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 la neuropathie optique héréditaire de Leber (NOHL)

La neuropathie optique héréditaire de Leber (NOHL) est une maladie génétique mitochondriale rare, à transmission maternelle, caractérisée par la dégénérescence des cellules ganglionnaires rétinienne, entraînant une perte de

---

<sup>1</sup> GS010/LUMEVOQ® 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.

vision brutale et irréversible pouvant conduire à la cécité légale, et touchant principalement les adolescents et les jeunes adultes. La NOHL se manifeste par une perte soudaine et indolore de la vision centrale au 1<sup>er</sup> œil, le 2<sup>nd</sup> œil étant ensuite atteint de manière séquentielle. Il s'agit d'une maladie symétrique avec une faible récupération visuelle fonctionnelle. 97 % des patients présentent une atteinte bilatérale dans l'année suivant le début de la perte de vision, et dans 25 % des cas, la perte de vision survient simultanément dans les deux yeux.

#### **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 à des séquences nucléotidiques spécifiques, afin de restaurer la fonction mitochondriale déficiente ou manquante. La dénomination « LUMEVOQ » a été acceptée par l'Agence européenne des médicaments (EMA) comme nom commercial du GS010 (lenadogene nolparvovec) en octobre 2018. LUMEVOQ® (GS010 ; lenadogene nolparvovec) n'a été enregistré dans aucun pays à ce jour.