

Communiqué de presse

## **GenSight Biologics annonce avoir obtenu les autorisations réglementaires pour traiter un patient aux États-Unis avec GS010/LUMEVOQ® dans le cadre d'un accès compassionnel (*Expanded Access*)**

- Autorisation de la FDA et approbation du comité d'éthique (*Institutional Review Board, IRB*), suivies de la libération pharmaceutique par une Personne Qualifiée (*Qualified Person, QP*) pour un traitement compassionnel (*Expanded Access*) d'un patient aux États-Unis ;
- Traitement programmé en novembre 2025 à la Faculté de médecine de l'Université de Pittsburgh (*UPMC*) ;
- Examen en cours du dossier de demande d'accès compassionnel français par l'ANSM ;
- Transfert de technologie vers le nouveau partenaire de fabrication conforme au calendrier, visant à produire de nouveaux lots, en ligne avec les objectifs de 2026.

**Paris (France), le 30 octobre 2025, 7h30 CET** – GenSight Biologics (Euronext : SIGHT, ISIN : FR0013183985, éligible PEA-PME), société biopharmaceutique dédiée au développement et à la commercialisation de thérapies géniques innovantes pour les maladies neurodégénératives rétiniennes et les affections du système nerveux central, annonce aujourd'hui que sa thérapie génique GS010/LUMEVOQ® a reçu les autorisations réglementaires pour le traitement compassionnel (*Expanded Access*) d'un patient aux États-Unis. Ces autorisations constituent les premiers feux verts réglementaires pour ce produit candidat depuis le retrait de la demande d'autorisation de mise sur le marché européen par la Société en 2023.

L'autorisation de la FDA a été accordée pour le traitement compassionnel (*Expanded Access*) d'un patient éligible, sur la base d'une demande soumise à l'agence par un médecin de la Faculté de médecine de l'Université de Pittsburgh (*UPMC*). L'approbation requise du comité d'éthique de l'établissement (*Institutional Review Board, IRB*) a également été obtenue. Le traitement du patient est programmé en novembre 2025.

GS010/LUMEVOQ® est en Phase III de son développement clinique en tant que traitement de la Neuropathie Optique Héréditaire de Leber (NOHL), maladie rare provoquant la cécité, due à une mutation du gène mitochondrial *ND4*. Le produit candidat n'a, à ce jour, pas reçu d'autorisation de mise sur le marché dans aucun pays.

### **La Société maintient sa priorité stratégique sur la fabrication et le développement clinique**

« Nous sommes très heureux de pouvoir mettre GS010/LUMEVOQ à disposition d'un patient dans le cadre d'un traitement compassionnel (*Expanded Access*) à l'UPMC », déclare **Laurence Rodriguez**, Directrice générale de GenSight Biologics. « À ce stade, notre priorité est d'assurer un approvisionnement

*suffisant pour l'étude clinique en instruction par l'ANSM et de soutenir nos discussions relatives au programme d'accès compassionnel français. Ces programmes constituent des étapes essentielles vers notre objectif de maximiser l'accès des patients à GS010/LUMEVOQ, compte tenu des importants besoins médicaux non-satisfaits des personnes atteintes de la NOHL. »*

La Société finalise actuellement le transfert de technologie vers son nouveau partenaire de fabrication, Catalent, dont l'achèvement est attendu d'ici fin 2025. Cette transition permettra la production de nouveaux lots en 2026 afin de répondre à l'ensemble des besoins cliniques et d'accès compassionnel anticipés.

GenSight Biologics se prépare au lancement, au second semestre 2026, de l'étude pivot de Phase III RECOVER pour GS010/LUMEVOQ®. En parallèle, la Société échange avec l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM) au sujet de l'étude « dose-ranging » demandée par l'agence en lien avec le programme d'accès compassionnel en France. Le protocole de l'étude, déposé en août 2025, est en cours d'examen selon un calendrier réglementaire bien défini.

Parallèlement, 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.

### **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 rétiniennes. 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](mailto: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 rétiniennes 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.