

GenSight Biologics annonce la délivrance d'une autorisation d'accès compassionnel (AAC) pour GS010/LUMEVOQ® en France

- L'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM) a accordé une autorisation d'accès compassionnel (AAC) pour GS010/LUMEVOQ®, thérapie génique indiquée dans le traitement de la NOHL liée à la mutation *ND4*.

Paris (France), le 22 décembre 2025, 7h00 CET – GenSight Biologics (Euronext : SIGHT, ISIN : FR0013183985, éligible PEA-PME), une société biopharmaceutique spécialisée dans le développement et la commercialisation de thérapies géniques 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 un accès compassionnel (Autorisation d'Accès Compassionnel, AAC) pour l'utilisation de la thérapie génique GS010/LUMEVOQ®¹.

Les AAC relèvent d'un dispositif national qui permet à des patients atteints de maladies graves, rares ou invalidantes de bénéficier d'un traitement ne disposant pas d'autorisation de mise sur le marché, lorsqu'il existe un besoin médical non couvert et qu'aucune alternative thérapeutique appropriée n'est disponible. Pour être éligible à une AAC, le traitement candidat doit présenter un rapport bénéfice/risque favorable. Les demandes d'AAC ne peuvent être initiées que par des professionnels de santé, qui déposent auprès de l'ANSM des demandes nominatives pour des patients identifiés. L'Agence évalue ensuite ces demandes et décide de leur autorisation. Les patients pour lesquels une demande de traitement par GS010 est déposée devront répondre à des critères d'éligibilité spécifiques, notamment en ce qui concerne la durée écoulée depuis l'apparition de leur perte de vision.

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

La Neuropathie Optique Héritaire de Leber (NOHL) est une maladie mitochondriale rare, transmise par la mère, caractérisée par la dégénérescence des cellules ganglionnaires rétiennes. 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 parmi les principales mutations.

Contacts

GenSight Biologics

Directeur Administratif et Financier

Jan Eryk Umiastowski

jeumiastowski@gensight-biologics.com

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 GenSight Biologics

GenSight Biologics S.A. est une société biopharmaceutique en phase clinique, spécialisée dans le développement et la commercialisation de thérapies géniques 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. 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.

À propos de GS010/LUMEVOQ® (lenadogene nolparvovec)

GS010/LUMEVOQ® (lenadogene nolparvovec) est indiqué dans 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.