

GenSight Biologics annonce l'autorisation réglementaire de traiter des patients en Israël avec GS010/LUMEVOQ® dans le cadre d'un accès compassionnel

- Le ministère israélien de la Santé autorise le traitement en accès compassionnel de patients par GS010/LUMEVOQ®, thérapie génique candidate pour le traitement de la Neuropathie Optique Héréditaire de Leber (NOHL) liée à la mutation mitochondriale *ND4* ;
- L'injection bilatérale devrait être réalisée au T1 2026.

Paris (France), le 22 décembre 2025, 18h00 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 la Division pharmaceutique du ministère israélien de la Santé a autorisé l'utilisation, dans le pays, de la thérapie génique candidate GS010/LUMEVOQ®¹ dans le cadre d'un accès compassionnel individuel.

L'accès compassionnel à un traitement en Israël peut, le cas échéant, être proposé à des patients atteints d'une maladie potentiellement mortelle ou sévèrement invalidante, qui ne peuvent pas être traités de manière adéquate par un médicament enregistré et autorisé en Israël ou à l'étranger, et qui ne peuvent pas être inclus dans un essai clinique approprié. Comme dans de nombreux pays, la décision de traiter doit être initiée par le médecin du patient ; le traitement doit ensuite être approuvé à la fois par le comité d'éthique de l'établissement traitant (Helsinki Committee) et par le ministère de la Santé. La demande de traitement compassionnel comprend le rationnel scientifique du traitement ainsi que des éléments issus d'études non cliniques et cliniques, ainsi que de la littérature professionnelle, qui étayent l'évaluation du rapport bénéfice/risque pour le patient. La société collabore avec SK-Pharma, son partenaire privilégié en Israël, afin de garantir l'accès à GS010/LUMEVOQ pour les patients dont les besoins médicaux ne sont pas couverts dans le pays.

« Nous sommes très heureux de pouvoir mettre à disposition, dans le monde entier, des quantités limitées de GS010/LUMEVOQ dans le cadre de traitements en accès compassionnel, après autorisation par les autorités compétentes concernées », commente **Laurence Rodriguez**, Directrice générale de GenSight Biologics. « Nous nous réjouissons également que les éléments que nous avons pu fournir, notamment les données cliniques sur GS010, aient permis d'étayer la demande de traitement compassionnel. »

« À ce stade, la Société accorde la plus haute priorité au fait de garantir un approvisionnement suffisant pour l'étude dose-ranging REVISE et pour le programme d'accès compassionnel (AAC) récemment autorisés en France », poursuit Laurence Rodriguez. « Ces programmes constituent des étapes essentielles vers notre objectif : maximiser l'accès des patients à GS010/LUMEVOQ grâce à l'obtention d'autorisations de mise sur le marché complètes dans des marchés clés à travers le monde. »

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

Point sur l'activité

La Société finalise actuellement le transfert de technologie vers son nouveau partenaire de fabrication, Catalent, dont la finalisation est attendue d'ici la fin de l'année 2025. Cette transition permettra la production de nouveaux lots en 2026 afin de couvrir l'intégralité des besoins cliniques prévus.

En parallèle, la Société se prépare à reprendre les discussions avec les agences réglementaires internationales, afin de préparer le lancement de l'étude pivot de Phase III GS010/LUMEVOQ®, RECOVER, au second semestre 2026 et d'anticiper un dépôt de dossier au Royaume-Uni.

La Société poursuit également des opportunités d'octroi de licence de GS010 dans des marchés en dehors des États-Unis et de l'Europe, tout en explorant la mise en place de programmes d'accès compassionnel payants à l'échelle mondiale.

Calendrier Financier en 2026

Position de trésorerie du T4 2025	8 janvier 2026
AGE*	28 janvier 2026
Etat financier de l'exercice 2025	26 mars 2026
Position de trésorerie du T1 2026	7 avril 2026
AG	19 mai 2026
Position de trésorerie du T2 2026	8 juillet 2026
Etat financier du premier semestre 2026	29 septembre 2026
Position de trésorerie du T3 2026	8 octobre 2026

* visant à renouveler l'autorisation financière pour les futures levées de fonds.

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 parmi les principales mutations.

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 destiné à traiter 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 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 à des séquences nucléotidiques spécifiques, afin de restaurer la fonction mitochondriale déficiente ou manquante. GS010/LUMEVOQ® (lenadogene nolparvovec) est actuellement en développement clinique. Il n'a été enregistré ni autorisé dans aucun pays à ce jour et n'est pas disponible commercialement.