

Lettre aux Actionnaires

Janvier 2026



EDITO



Laurence Rodriguez
CEO GenSight Biologics

Chère Madame, cher Monsieur,
Chers Actionnaires,

En ce début d'année 2026, je vous propose une rétrospective de l'année qui vient de s'écouler et ainsi mettre en exergue les avancées significatives réalisées, grâce à l'engagement et au professionnalisme de nos équipes.

En respectant sa feuille de route GenSight a atteint un véritable point d'inflexion, qui ouvre un nouveau chapitre pour l'entreprise !

La gestion financière

La société a maintenu tout au long de l'année une gestion stricte de ses dépenses opérationnelles. Nous avons refinancé GenSight à 5 reprises grâce à la confiance de nos investisseurs historiques que je remercie vivement et à l'arrivée de nouveaux investisseurs qui ont su percevoir le potentiel de GenSight.

Ces opérations de refinancement ont permis d'assurer le transfert de production et de préparer les différents programmes d'accès dérogatoires.

Sommaire

- Éditorial de la Directrice Générale
- Conférence J.P. Morgan Healthcare 2026
- Sélection des patients pour l'étude REVISE
- GS010/LUMEVOQ® et la réglementation OGM
- Sécurisation de la chaîne du froid de GS010
- NewsFlow

Le transfert de technologie

Nous annonçons début 2025 un changement du site de fabrication de GS010/LUMEVOQ® qui était indispensable à la poursuite durable de notre activité.

Les étapes clés de ce transfert ambitieux ont été effectuées et vont permettre la fabrication prochaine des lots commerciaux, très attendue. Le transfert de technologie s'est accompagné d'un changement de nos procédés de testing.

Les accès dérogatoires

Nous avons obtenu en fin d'année différents accès dérogatoires qui vont permettre la mise en œuvre de traitement précoce de patients aux Etats Unis, en France et en Israël. Nous anticipons des mises au traitement très prochainement dans les différents pays. Des flacons sont d'ores et déjà disponibles pour répondre aux demandes.





Autres avancées majeures

Le protocole de l'étude de dose REVISE est validé. L'inclusion des premiers patients commencera en janvier 2026.

Nous poursuivons le suivi des patients du GS030 (candidat au traitement optogénétique de la rétinite pigmentaire) traités dans le cadre de l'essai de phase I/II PIONEER.

Cette année 2025 fut très riche, nous avons gardé le cap que nous nous étions fixés : mettre GS010 précocement à la disposition des patients !

Perspectives pour 2026

L'année 2026 va s'inscrire dans cette dynamique retrouvée : En parallèle de la reprise des traitements via l'accès compassionnel, nous orienterons nos efforts vers le recrutement de l'étude de dose REVISE et la finalisation du protocole de l'étude clinique pivotale RECOVER. Nous planifions une prise de contact avec les équipes réglementaires de l'agence britannique prochainement pour définir le parcours réglementaire optimal de Lumevoq.

GS030 va poursuivre son plan de développement clinique. Nous maintenons des discussions avec de potentiels partenaires sur des opportunités stratégiques qui permettrait une accélération de ce plan.

Mot de conclusion

Je tiens à vous remercier très sincèrement pour la confiance que vous nous accordez ainsi que pour votre engagement constant à nos côtés. Nos échanges permettent une communication plus lisible et je vous en remercie.

Je vous adresse mes meilleurs vœux de santé et de pleine réussite dans l'ensemble de vos projets personnels et professionnels.

Excellente année 2026 à tous !

Laurence Rodriguez

J.P. Morgan Healthcare Conference 2026



Jan Eryk Umiastowski
Directeur Financier

Je suis heureux d'annoncer que GenSight a remporté un vif succès lors de la conférence J.P. Morgan Healthcare 2026 qui s'est tenue à San Francisco.



Une semaine exceptionnellement riche en rencontres

Le déplacement de cette année s'est avéré particulièrement fructueux, grâce à une atmosphère stimulante et à d'excellentes conditions qui ont facilité l'établissement de liens significatifs tout au long de la semaine. J'ai eu un programme de réunions de 7 h à 17 h tous les jours, suivi de soirées de networking.

Partenariats et collaborations stratégiques

Ma présence à San Francisco m'a permis de renforcer des relations existantes et d'en nouer de nouvelles au sein de notre écosystème :

- **Fournisseurs** : j'ai mené des échanges approfondis avec des fournisseurs actuels et potentiels, renforçant ainsi nos partenariats d'approvisionnement et explorant des solutions innovantes pour atteindre nos objectifs de développement et de commercialisation.
- **Partenaires actuels** : j'ai renforcé mes relations avec nos partenaires stratégiques actuels, en nous alignant sur des objectifs communs et en discutant des prochaines étapes de nos initiatives de collaboration.
- **Futurs partenaires** : plusieurs conversations prometteuses ont été engagées avec des partenaires potentiels qui partagent notre vision et pourraient jouer un rôle déterminant dans l'accélération de notre progression.
- **Investisseurs** : j'ai pris contact avec nos investisseurs actuels ainsi qu'avec des investisseurs potentiels, afin de leur présenter les progrès accomplis et les orientations stratégiques de GenSight. Le niveau d'intérêt et d'engagement dont ils ont fait preuve était prometteur, reflétant une confiance croissante dans notre approche et notre potentiel.

Perspectives d'avenir

Les relations établies et renforcées lors du JPM 2026 placent GenSight dans une position favorable alors que nous progressons vers notre objectif ultime : mettre nos traitements à disposition des patients qui en ont besoin. Cette semaine intense mais enrichissante a dynamisé notre équipe et renforcé notre engagement à mener à bien notre mission. Je vous tiendrai informés des résultats concrets de ces discussions dans les mois à venir, tout en poursuivant sur notre lancée en 2026.

Sélection des Patients pour l'Étude REVISE



Magali Taiel
Directeur Médical

Initiation de l'étude et parcours du premier patient

L'étude REVISE, précédemment approuvée par l'ANSM et le comité d'éthique, a débuté en janvier 2026 après l'achèvement de ces deux étapes clés :

- Activation du site de l'hôpital des 15-20, site investigateur en charge de l'étude REVISE. L'activation d'un site investigateur nécessite la finalisation de divers dossiers et documents réglementaires.
- Les flacons de lenadogene nolparavec ont été expédiés et sont désormais disponibles sur site pour une utilisation clinique.

Processus de sélection et d'inclusion des patients

Le processus de sélection des patients pour l'étude clinique suit les étapes classiques suivantes :

- Les médecins/ophtalmologistes/neuro-ophtalmologistes peuvent demander l'inclusion de leurs patients dans l'étude REVISE s'ils remplissent les critères de sélection de l'étude.
- Ils adressent alors leurs patients à l'Investigateur Principal du centre hospitalier 15-20, qui confirme l'éligibilité des patients lors des visites de sélection (screening).
- Par la suite, ces patients sont traités et suivis dans le cadre de l'étude REVISE.

Bien sûr, les patients suivis localement à l'hôpital des 15-20 et remplissant les critères de sélection peuvent également participer à l'étude REVISE.

Il est important de souligner qu'avant la réalisation de tout examen ou visite de l'étude, le patient acceptant de participer signe et date le formulaire de consentement éclairé de l'étude. Ce formulaire de consentement décrit les objectifs de l'étude, ses procédures, ses risques et ses bénéfices, ainsi que les droits des participants.

Prochaine Étape

À ce jour, le premier patient de l'étude effectuera sa visite de sélection pour être inclus dans l'étude, à la fin de ce mois.

GS010/LUMEVOQ® et la réglementation OGM



Magali Gibou
Directrice des Affaires
Réglementaires et Qualité

Pourquoi parle-t-on d'OGM pour une thérapie génique ?

GS010/LUMEVOQ® utilise un vecteur viral (AAV) pour transporter le gène thérapeutique jusqu'aux cellules de la rétine. En Europe, ces vecteurs sont classés comme "organismes génétiquement modifiés" (OGM). Cela signifie que l'utilisation du produit doit respecter des règles spécifiques.

Que demande la réglementation européenne ?

Deux objectifs guident ces règles : protéger la santé des patients et protéger l'environnement. Concrètement, avant toute utilisation (essai clinique, accès compassionnel ou mise sur le marché), GenSight doit déclarer ou obtenir des autorisations dans chaque pays où le produit sera administré.

Selon le contexte, deux types de procédures existent :

- **Utilisation confinée** : quand le produit est manipulé dans un environnement contrôlé (site de fabrication, hôpital lors d'essais cliniques). Des mesures de sécurité sont mises en place pour éviter tout contact avec l'environnement.
- **Dissémination volontaire** : pour toute activité impliquant l'OGM qui n'est pas une utilisation confinée. Une évaluation des risques environnementaux est alors requise.

Comment ça se passe en France ?

En France, c'est l'ANSM (Agence nationale de sécurité du médicament) qui supervise les procédures de déclaration ou de demande d'autorisation d'utilisation d'OGM. GenSight doit soumettre un dossier technique avec une évaluation des risques pour la santé et l'environnement. L'ANSM peut consulter des comités d'experts avant de rendre son avis.

Et pour GS010/LUMEVOQ® ?

Bonne nouvelle : le vecteur AAV utilisé dans GS010 est bien caractérisé et présente un profil de risque très faible. Il est classé dans le groupe 1 (risque nul ou négligeable), ce qui correspond au niveau de confinement le plus bas. Cette classification facilite les démarches administratives tout en garantissant la sécurité des patients et de l'environnement.

Sécurisation de la chaîne du froid de GS010



Scott Jeffers
Directeur Technique

L'approvisionnement pour les essais cliniques GS010/LUMEVQ® et accès précoces doivent répondre à un élément fondamental : chaque flacon doit quitter le congélateur à -80 °C et arriver en salle d'injection dans le même état impeccable, prêt à être injecté dans l'œil du patient.

Pourquoi la chaîne du froid est si critique

GS010 est un médicament de thérapie génique congelé, qui doit être stocké et transporté à des températures négatives strictement contrôlées afin de préserver ses propriétés thérapeutiques et sa sécurité. Si la température sort de la plage autorisée, la capacité du vecteur viral à délivrer la thérapie peut être altérée, ce qui remettrait en cause à la fois l'efficacité et la sécurité du patient. Tout écart de température peut signifier que les flacons ne pourront pas être utilisés et que les patients ne seront pas traités comme prévu.

Sécurisation de la chaîne du froid lors du stockage et du transport

Pour l'approvisionnement clinique et de l'accès précoce de GS010, le parcours entre le site de fabrication et l'hôpital se déroule globalement comme suit :

- Les flacons de GS010 congelés sont libérés depuis le site de fabrication après la réalisation complète des contrôles qualité.
- Les flacons sont stockés dans des installations de stockage à basse température qualifiées (centrales ou régionales), testées et surveillées en continu jusqu'à la confirmation d'une commande pour un patient spécifique.
- Les flacons sont ensuite conditionnés dans des conteneurs validés de transport adapté à cette chaîne du froid, testés pour maintenir la température requise, puis expédiés via des itinéraires préqualifiés vers l'hôpital ou le centre d'ophtalmologie, avec des sondes de température assurant une surveillance continue tout au long du transport.

À la réception, le personnel de la pharmacie ou de l'équipe clinique vérifie immédiatement :

- L'intégrité du conteneur de transport et la présence de tout scellé inviolable.
- Le rapport de température indiquant si le produit est resté dans la plage acceptable pendant toute la durée du transport.
- L'identité des flacons par rapport à la documentation de l'essai clinique ou de l'accès précoce, afin de garantir que le bon produit se trouve au bon endroit pour le bon patient.

Ce n'est qu'après ces vérifications que la livraison est acceptée et placée dans le congélateur à température contrôlée de l'hôpital, jusqu'au jour programmé de l'injection.

Différences entre les chaînes d'approvisionnement des essais cliniques et de l'accès précoce

Dans les études de phase 3 telles que REFLECT et la future étude RECOVER, GS010 a été ou sera expédié vers un nombre limité de centres d'ophtalmologie hautement spécialisés en Europe, aux États-Unis et dans d'autres régions, chacun étant formé à la manipulation et à l'administration de la thérapie génique.

Les programmes d'accès précoce, tels que le programme nominatif d'accès précoce (AAC) prévu en France et l'accès précoce individuel dans des pays comme Israël, suivent les mêmes principes, mais sont organisés selon des règles et des délais nationaux spécifiques.

Étant donné que l'accès précoce concerne souvent des patients en dehors d'un essai clinique formel, les quantités sont limitées et chaque flacon est réservé à un patient ou à un centre spécifique une fois que l'autorité compétente a autorisé le traitement. La fiabilité de la chaîne du froid est donc essentielle, car le remplacement d'une expédition perdue ou ayant subi une excursion de température peut ne pas être possible dans la fenêtre de temps durant laquelle le patient est éligible au traitement.

Le travail de sécurisation de la chaîne du froid avant le début des expéditions

Compte tenu de l'exigence d'un contrôle strict de la qualité du produit tout au long de son parcours, du site de fabrication jusqu'au centre de traitement, GenSight planifie et qualifie l'intégralité de la chaîne du froid pour les essais cliniques et les programmes d'accès précoce nominatif avant même que le premier patient ne soit traité dans un centre.

Ce processus inclut l'identification de congélateurs validés, de transporteurs qualifiés capables de maintenir la température et de protéger les flacons contre les chocs susceptibles de les casser, ainsi que de dispositifs de surveillance continue de la température créant un enregistrement permanent pour chaque expédition et chaque lot.

Afin de maintenir chaque flacon de GS010 dans un état impeccable jusqu'à l'injection, plusieurs niveaux de protection sont en place :





- Des conteneurs et des itinéraires validés garantissant que, même en cas de retard de vol ou de contrôle douanier, la température interne reste dans la plage définie pendant une durée supérieure au temps de transit maximal envisagé.
- Des dépôts et congélateurs hospitaliers qualifiés, équipés d'alarmes, d'alimentations de secours et d'un suivi documenté de la température, afin que le stockage soit aussi strictement contrôlé que lors du transport.
- Des procédures opératoires standard clairement définies et des formations associées pour GenSight, les partenaires logistiques et les sites cliniques, précisant notamment la durée maximale pendant laquelle les flacons peuvent être laissés à température ambiante lors de la réception, de la préparation et de la décongélation avant l'injection.
- Une documentation complète et une traçabilité totale permettant de suivre chaque flacon depuis la libération du lot de fabrication jusqu'à l'administration à un patient donné, en passant par l'expédition, la réception, le stockage.

En cas de déviation, les données issues des enregistreurs de température et des documents de chaîne de traçabilité permettent à GenSight et au centre de traitement de décider si le flacon reste acceptable ou s'il doit être détruit afin de protéger le patient. Pour les patients intégrant un essai clinique GS010 ou un programme d'accès précoce, cette gestion rigoureuse de la chaîne du froid permet de garantir que la thérapie contenue dans la seringue le jour de l'injection est exactement celle qui a quitté le site de fabrication.

NEWSFLOW *sur la page suivante*

NEWSFLOW

ÉVÉNEMENTS & PUBLICATIONS

Rétrospective



DG dans PharmaBoardRoom

Octobre 2025 | Paris

Laurence Rodriguez, Directrice générale de GenSight, a été interviewée par PharmaBoardRoom.



La Directrice générale rejoint le Conseil d'administration de France Biotech.

Décembre 2025 | Paris

La Directrice générale de GenSight, Laurence Rodriguez, a rejoint le Conseil d'administration de France Biotech au sein du collège Biotech.



44th Annual J.P. Morgan Healthcare Conference

Janvier 2026 | San Francisco, California

Jan Eryk Umiastowski, Directeur administratif et financier de GenSight, été présent lors de la conférence J.P. Morgan Healthcare 2026.



Assemblée générale extraordinaire (AGE)

Janvier 2026 | Paris

GenSight a organisé une assemblée générale extraordinaire (AGE) dans ses bureaux parisiens.

À venir



Résultats financiers annuels

Mars 2026

GenSight publiera ses résultats annuels.



Publications sur GS010/LUMEVOQ®

Mars 20-24 - Boston, USA

North American Neuro-Ophthalmology Society 2026



Situation de trésorerie du T1 2026

7 Avril 2026

GenSight communiquera sa situation de trésorerie au titre du premier trimestre 2026.



Publications sur GS010/LUMEVOQ®

18-22 Avril 2026 - Chicago, USA

American Academy of Neurology 2026



Accédez à l'ensemble de nos lettres aux actionnaires et abonnez-vous en scannant ce QR code ou en cliquant [sur ce lien](#)