

Communiqué de presse

L'Hôpital national des 15-20 et GenSight Biologics annoncent le traitement du premier patient dans le cadre de l'étude REVISE de GS010/LUMEVOQ®

- Ce patient est le premier des 14 patients prévus pour cette étude de dose, approuvée en décembre 2025 par l'Agence Nationale de Sécurité du Médicament et des produits de santé (ANSM) ;
- Cette étude clinique témoigne du partenariat durable entre l'Hôpital des 15-20 et GenSight Biologics pour développer des traitements innovants dans les maladies rares.

Paris, France, le 10 février 2026, 7h30 CET – L'Hôpital national des 15-20 à Paris et GenSight Biologics (Euronext : SIGHT, ISIN : FR0013183985, éligible PEA-PME), société biopharmaceutique dédiée à la découverte et au développement de thérapies géniques innovantes pour le traitement des maladies neurodégénératives de la rétine et du système nerveux central, ont annoncé aujourd'hui que le premier patient de l'étude REVISE a été traité. Cette étude de dose ouverte, monocentrique, prévoit le recrutement de 14 patients en France.

Avec le démarrage de REVISE, l'hôpital est, à l'heure actuelle, le seul établissement en Europe à conduire une étude clinique portant sur GS010/LUMEVOQ®, la thérapie génique candidate de GenSight Biologics, en cours de développement pour le traitement de la Neuropathie Optique Héréditaire de Leber (NOHL) liée à une mutation du gène mitochondrial *ND4*.¹ L'hôpital est également le seul établissement en Europe autorisé à administrer GS010 sous Autorisation d'Accès Compassionnel (AAC).

« *En tant qu'hôpital de référence dans la lutte contre les pathologies de la vision, l'Hôpital national des 15-20 s'engage à accompagner les avancées scientifiques les plus prometteuses, dans un cadre rigoureux et au service des patients atteints de pathologies rares,* » explique **Nicolas Péju**, Directeur Général de l'Hôpital national des 15-20. « *Le démarrage de l'étude REVISE témoigne de cette dynamique et de la confiance accordée à nos équipes cliniques et de recherche.* »

L'étude REVISE évaluera deux doses de GS010 pour le traitement de la NOHL liée à *ND4*. Cette étude de dose a été demandée par l'ANSM dans le cadre de l'examen de la demande d'Autorisation d'Accès Compassionnel (AAC) pour GS010 et a été autorisée en décembre 2025.

Examiné en parallèle de l'étude REVISE, le dispositif d'AAC, ouvert aux patients étrangers sous condition de prise en charge par leur propre pays, a également obtenu l'autorisation de l'ANSM dans le courant du mois de décembre 2025. Conformément à la réglementation, les premières demandes nominatives au titre de l'AAC ont été soumises à l'ANSM la semaine dernière. La demande d'AAC de chaque patient sera évaluée par l'agence sur la base d'une concertation collégiale. Les patients français éligibles aux deux dispositifs se verront proposer en priorité une inclusion dans l'étude REVISE.

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

« Chez GenSight, nous sommes heureux que deux voies soient désormais disponibles pour permettre aux patients d'être traités par GS010 en France, » déclare la Dr Magali Taiel, Directrice Médicale de GenSight Biologics. « Le besoin médical non couvert chez les patients atteints de NOHL liée à ND4 et l'urgence de traiter cette pathologie nous incitent à poursuivre nos efforts pour avancer dans le développement clinique de cette thérapie génique, notamment notre objectif de lancer un nouvel essai clinique de Phase III d'ici la fin de l'année. »

La NOHL est une maladie mitochondriale rare, de transmission maternelle, caractérisée par une dégénérescence des cellules ganglionnaires de la rétine et provoquant une perte brutale et irréversible de la vision conduisant généralement à la cécité légale. La mutation mitochondriale sur le gène *ND4* est la plus fréquente des mutations causant la NOHL et est associée au pire pronostic visuel.

Contacts

L'Hôpital national des 15-20

Doriane Allain
Responsable de la communication
dallain@15-20.fr
+33 (0)6 30 71 02 40

GenSight Biologics

Chief Financial Officer
Jan Eryk Umiastowski
jeumiastowski@gensight-biologics.com

À propos de l'Hôpital national des 15-20

L'Hôpital national des 15-20 est l'hôpital français de référence en ophtalmologie et dans la lutte contre les pathologies de la vision. Hôpital de renom national et d'enseignement universitaire, l'Hôpital national des 15-20 rassemble les meilleures équipes médicales et de soins et offre des soins spécialisés pour les maladies de la vision. En 2018, l'hôpital a fondé, avec l'Institut de la Vision, l'Institut Hospitalo-Universitaire (IHU) FOReSIGHT, dont la mission est de promouvoir la recherche fondamentale pour développer les soins ophtalmologiques de demain et de fournir l'accès aux innovations thérapeutiques grâce à des partenariats internationaux et au développement d'entreprises impliquées dans la prévention et le traitement des maladies oculaires.

www.15-20.fr

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 rétinianes cécitantes. Le principal candidat médicamente 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.