

Communiqué de presse

L'Hôpital national des 15-20 et GenSight Biologics annoncent les premiers traitements dans le cadre du programme d'Autorisation d'Accès Compassionnel (AAC) pour GS010/LUMEVOQ®

- Les premiers patients du programme d'AAC GS010 ont été traités le 19 mars à l'Hôpital national des 15-20 à Paris ;
- L'étude de dose REVISE se poursuit conformément au calendrier prévisionnel.

Paris, France, le 20 mars 2026, 07h30 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, annoncent aujourd'hui le traitement des premiers patients dans le cadre du programme d'Autorisation d'Accès Compassionnel (AAC) pour GS010/LUMEVOQ® en France.¹ En parallèle, l'étude de dose REVISE a inclus trois nouveaux patients.

Premiers patients traités dans le cadre du programme d'AAC

À la suite de [la récente autorisation des premières demandes nominatives](#) du programme d'AAC GS010, un groupe de patients a été traité le 19 mars à l'Hôpital national des 15-20 à Paris. D'autres traitements sont programmés au cours des prochaines semaines.

GS010 est une thérapie génique candidate en développement clinique pour le traitement de la neuropathie optique héréditaire de Leber (NOHL) liée à une mutation du gène mitochondrial *ND4*. Les patients atteints de NOHL subissent une perte de vision brutale, souvent irréversible, liée à la dégénérescence rapide de leurs cellules ganglionnaires rétinienne (CGR), des cellules essentielles à la vision. Consciente de l'urgence à traiter la maladie face à la perte progressive de ces cellules, l'ANSM a autorisé dans le cadre du dispositif d'AAC, le traitement de plusieurs patients présentant une baisse de vision en rapport avec la NOHL-*ND4*. La mutation mitochondriale sur le gène *ND4* est la plus fréquente des mutations causant la NOHL et est associée au plus mauvais pronostic visuel.

« L'Hôpital national des 15-20 assure un accès à GS010 aux patients atteints de NOHL dans un cadre réglementaire rigoureux, » déclare **Nicolas Péju**, Directeur Général de l'Hôpital national des 15-20. *« Nos équipes cliniques sont pleinement mobilisées pour prendre en charge ces patients, que ce soit dans le cadre de l'étude REVISE ou de l'accès compassionnel. »*

Point sur l'étude REVISE

L'étude de dose REVISE, [approuvée par l'ANSM et le comité d'éthique en décembre 2025](#), se déroule conformément au calendrier prévisionnel. Le premier patient a été [traité en février 2026](#) et trois nouveaux patients ont été inclus dans l'étude. Les patients français éligibles à la fois à l'étude REVISE et au

¹ GS010/LUMEVOQ® 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.

programme d'AAC se voient proposer en priorité une inclusion dans l'étude clinique, conformément à la réglementation en vigueur.

« Le traitement des premiers patients dans le cadre du programme d'AAC concrétise l'accès à GS010 pour les patients atteints de NOHL liée à la mutation ND4, qui ne disposent aujourd'hui d'aucune alternative thérapeutique appropriée, » déclare la **Dr Magali Taiel**, Directrice Médicale de GenSight Biologics. « Avec l'étude REVISE et le programme d'accès compassionnel, deux voies complémentaires sont désormais disponibles en France pour traiter ces patients. »

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 rétinienues 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.