



## **VARIANT reçoit un avis favorable de l'Agence Européenne des Médicaments (EMA) pour VAR002, sa thérapie génique de remplacement innovante.**

**Paris, le 3 avril 2025** – Variant, société dédiée au développement de traitements innovants pour les maladies oculaires héréditaires rares, et le Centre des Maladies Oculaires Rares de l'Université de Campanie Luigi Vanvitelli – UCLV (Naples, Italie), annoncent aujourd'hui avoir reçu un avis favorable de l'EMA. Cette consultation visait à garantir que le plan de développement non clinique de VAR002 est adapté à la réalisation d'un futur essai clinique de première administration chez l'humain (First-in-Human). Elle a également confirmé que la conception de l'étude de toxicologie pivot prévue pourrait soutenir une demande d'autorisation de mise sur le marché dans l'Union européenne.

### **Conseil scientifique de l'EMA : Avis favorable sur VAR002**

L'Agence Européenne des Médicaments (EMA) a délivré un avis scientifique favorable soutenant le plan de développement non clinique de VAR002, une thérapie génique utilisant un vecteur viral adéno-associé ciblant les dystrophies rétiniennes héréditaires liées aux mutations du gène **CRX**. Le programme préclinique, incluant les études pivots de toxicologie et de biodistribution, a été jugé approprié pour avancer vers un essai clinique de première administration chez l'humain. Cet avis confirme que les données générées à ce jour soutiennent adéquatement le profil de sécurité et d'activité pharmacologique de VAR002, assurant une base solide pour sa transposition clinique.

L'étude prévue évaluera VAR002 chez des patients atteints de maladies rétiniennes associées au gène **CRX**, répondant à un besoin médical non satisfait crucial en matière de thérapie génique ophtalmique.

L'EMA a également confirmé que la conception de l'étude pivot de toxicologie prévue pour VAR002 est conforme aux exigences nécessaires pour appuyer une future demande d'autorisation de mise sur le marché (MAA) dans l'UE. Réalisée conformément aux Bonnes Pratiques de Laboratoire (GLP), cette étude évaluera la sécurité, la biodistribution et la toxicité potentielle de VAR002, garantissant une évaluation complète de son profil bénéfice/risque.

L'EMA a reconnu la pertinence de cette étude pour répondre aux attentes réglementaires clés en matière de thérapies géniques, renforçant la solidité de la stratégie de développement non clinique de VAR002 à mesure qu'elle progresse vers les essais cliniques et, à terme, vers l'autorisation de mise sur le marché.

### **Sécuriser le parcours de développement de VAR002**

« L'EMA a souligné la nécessité d'une attention particulière aux risques potentiels liés à l'expression du transgène CRX en dehors des cellules photoréceptrices, en raison de l'autoactivation du promoteur



hGRK1 », déclare Denis Cayet, PDG de Variant. « Ces recommandations sont essentielles pour renforcer la robustesse de nos études précliniques et, en fin de compte, sécuriser le parcours de développement de VAR002, en assurant les plus hauts standards de sécurité et d'efficacité à mesure que nous avançons vers les essais cliniques. »

#### À PROPOS de VAR002

VAR002 est un vecteur viral adéno-associé recombinant (rAAV), initialement développé pour traiter l'amaurose congénitale de Leber, la rétinite pigmentaire et la dystrophie cône-bâtonnet dues à une mutation du gène **CRX**. Cette thérapie de remplacement génique fournit une copie non mutée du gène humain **CRX** afin de remplacer le gène défectueux, induisant ainsi l'expression d'une protéine CRX fonctionnelle dans les photorécepteurs. VAR002 est administré sous forme de suspension stérile de particules virales injectée directement dans l'espace sous-rétinien, déclenchant l'expression du transgène dans les bâtonnets et les cônes.

Des découvertes récentes ont également démontré le potentiel de VAR002 au-delà des dystrophies rétinienne héréditaires liées à **CRX**, notamment dans les maladies impliquant des défauts des voies de phototransduction et les ciliopathies. Des études précliniques dans des modèles animaux pertinents, y compris ceux liés à la protéine **CEP290**, ont mis en évidence la capacité de VAR002 à restaurer la fonction rétinienne dans un spectre plus large de troubles génétiques, ouvrant ainsi la voie à des applications cliniques élargies.

#### À PROPOS de [VARIANT](#)

Variant est une société de biotechnologie spécialisée dans le développement de solutions innovantes de thérapie génique pour les maladies rétinienne héréditaires. Variant concentre ses efforts sur l'exploitation des facteurs de transcription rétinienne pour restaurer la fonction des photorécepteurs dans les dystrophies rétinienne sévères.

Par ailleurs, Variant a initié une équipe dédiée à la transition préclinique, en collaboration avec le Professeur Francesca Simonelli (Hôpital de Naples, Italie), pour accélérer le passage de la recherche à l'application clinique.

#### À PROPOS du Centre des maladies oculaires rares de l'Université de Campanie Luigi Vanvitelli, Naples, Italie.

Le Centre pour les Maladies Oculaires Rares de l'hôpital universitaire de l'Université de Campanie Luigi Vanvitelli propose des parcours diagnostiques, de réhabilitation et thérapeutiques pour les patients atteints de maladies oculaires héréditaires. Récemment, une **Unité Avancée de Thérapies Oculaires Téléthon** a été créée au sein du Centre, unique en Italie et parmi les rares en Europe, cette unité est dédiée aux études cliniques visant à évaluer des stratégies thérapeutiques innovantes pour le traitement des maladies oculaires rares. Cela permet l'inclusion des patients dans des études cliniques majeures pour les maladies héréditaires de l'œil.

#### Contact

**Dorothee M.**  
Attachée de presse

09 53 73 68 15  
[contact@variant.paris](mailto:contact@variant.paris)

Cliquez et entrez en contact avec nous sur LinkedIn

