VARIANT annonce un financement France 2030 pour son projet de thérapie génique VAR002 contre les dystrophies rétiniennes héréditaires

Paris, le 03 novembre 2026 – Le consortium constitué par le chef de file VARIANT, accompagné de ses partenaires le CNRS, RETINA FRANCE et l'Institut *Imagine* (INSERM, AP-HP, Université Paris Cité), franchit une étape clé avec le financement de **7,2 M€** par **France 2030** pour son projet VAR002, une thérapie génique conçue pour traiter plusieurs formes de dystrophies rétiniennes héréditaires avec un seul produit. Le projet a été sélectionné à l'issue de l'appel à projet iDémo générique 4 pour le développement d'un biomédicament innovant. Cette aide, notifiée par le Premier ministre, marque une étape stratégique pour VARIANT et ses partenaires : elle leur permet d'accélérer le développement de la thérapie génique VAR002 et de préparer l'entrée en clinique au bénéfice des patients atteints de dystrophies rétiniennes héréditaires.

VAR002 : une thérapie française au cœur de la stratégie nationale d'innovation

Après une évaluation rigoureuse par un comité d'experts indépendant, le projet VAR002 porté par VARIANT en collaboration avec le CNRS et l'Institut *Imagine* a été reconnu pour son excellence scientifique et son alignement avec les objectifs de **France 2030**. Cette reconnaissance se traduit par une participation financière de l'Etat pour VARIANT pouvant atteindre **4 550 670 €** pour soutenir sa réalisation, venant compléter une levée d'amorçage de **2 000 000 €** réalisée par les cabinets de conseil en gestion de patrimoine du **Groupe Emeraude**.

En réunissant la biotech française VARIANT, le CNRS et l'Institut *Imagine*, VAR002 fait le lien entre recherche académique et développement thérapeutique au service des maladies rares. Le projet contribue ainsi à renforcer les capacités françaises d'innovation et à maintenir en France le développement de nouvelles thérapies.

« Ce soutien de France 2030 est une reconnaissance forte de la maturité scientifique de notre approche. Il nous donne les moyens d'accélérer le développement pré-clinique et réglementaire de VAR002 sur les 60 prochains mois, avec deux objectifs clairs : préparer l'entrée en clinique de notre thérapie génique et d'en élargir son potentiel thérapeutique. » - Denis Cayet, Président et fondateur de VARIANT.

Les ambitions du projet VAR002

Les dystrophies rétiniennes héréditaires touchent environ 1 personne sur 4 000 et constituent la première cause de cécité d'origine génétique chez l'adulte jeune. Elles détruisent peu à peu les photorécepteurs, les cellules de la rétine qui captent la lumière, entraînant une perte sévère de la vue, qui va souvent jusqu'à la cécité.

Ces maladies sont difficiles à traiter parce qu'elles sont très diverses. Une thérapie génique classique remplace un gène défectueux par une copie saine, donc chaque gène demande son propre traitement. Aujourd'hui, une seule thérapie génique est autorisée en Europe pour ces maladies, le Luxturna. Elle ne s'adresse qu'aux patients qui portent des mutations du gène *RPE65*. La grande majorité des patients reste donc sans perspective thérapeutique.

C'est pour répondre à ce besoin médical non couvert que VAR002 a été conçu, selon une approche « gène-agnostique » : au lieu de corriger chaque gène un par un, il apporte aux photorécepteurs une copie supplémentaire du gène *CRX*. Ce gène code un facteur de transcription, c'est-à-dire une protéine qui contrôle l'activité de nombreux autres gènes indispensables à la vision. Par cette stratégie, VAR002 cherche à garder les photorécepteurs en vie et à préserver leur fonction, y compris quand la mutation touche un autre gène que *CRX*.

« Les dystrophies rétiniennes héréditaires impliquent plus de 450 gènes. Avec VAR002, nous explorons une approche innovante en ciblant CRX, un régulateur central du développement et du fonctionnement rétinien, pour agir sur un mécanisme commun à plusieurs dystrophies, indépendamment du gène responsable. » déclare Jérome ROGER, CSO de VARIANT et chercheur au CNRS.

« Le financement France 2030 nous permet de développer cette approche jusqu'à un premier essai clinique à l'hôpital Necker-Enfants Malades, en nous appuyant sur notre expertise des ciliopathies liées à CEP290. » déclare Jean-Michel Rozet, directeur de recherche Inserm et chef d'équipe à l'Institut Imagine (Inserm, AP-HP, Université Paris Cité)

L'avancement du projet VAR002 est déjà solidement engagé

Les financements France 2030 seront mobilisés pour (i) la production du vecteur de qualité clinique ainsi que (ii) la conduite des études règlementaires de toxicologie prévues en 2026/27, dans le but (iii) d'engager l'essai clinique de phase I/II avec l'Hôpital Necker Enfants Malades (Paris) sur les ciliopathies en ophtalmologie.

Les travaux de recherche engagés ambitionnent également d'élargir le potentiel thérapeutique de VAR002 à de nouvelles indications jusque-là sans traitement.

À PROPOS de *VAR002*

VAR002 est une thérapie génique de nouvelle génération développée par VARIANT pour traiter les dystrophies rétiniennes héréditaires, qu'elles soient dues ou non à une mutation identifiée. Ce traitement repose sur le facteur de transcription CRX, probablement le plus central des régulateurs naturels du programme génétique des photorécepteurs, les cellules clés de la vision que sont les cônes et les bâtonnets.

Contrairement aux approches classiques qui remplacent un gène défectueux par une copie saine, VAR002 agit en réactivant les réseaux de gènes gouvernés par CRX afin de restaurer la fonction visuelle. En délivrant CRX directement dans les photorécepteurs via un vecteur viral adéno-associé (rAAV) spécifiquement actif dans ces cellules, VAR002 relance la différenciation de photorécepteurs dormants, notamment des cônes, stimule la survie neuronale, compense la perte de fonction partielle des protéines altérées. Cette stratégie dite

gène-agnostique permet d'agir à la fois sur les maladies liées à CRX lui-même mais aussi sur de nombreuses autres pathologies jusqu'ici sans traitement.

A PROPOS de France 2030

France 2030 est le plan d'investissement du Gouvernement pour positionner la France en leader du monde de demain. Doté de 54 milliards d'euros sur 5 ans, ce programme ambitieux et sélectif vise à accélérer l'innovation dans les secteurs stratégiques : décarbonation de l'industrie, énergies renouvelables et nucléaire, transports du futur, alimentation durable, contenus culturels et créatifs, intelligence artificielle, biotechnologies et santé. Le programme soutient l'ensemble du cycle de vie de l'innovation, de la recherche à l'industrialisation, en s'appuyant sur les opérateurs publics (ANR, ADEME, Bpifrance, Banque des Territoires). France 2030 repose sur un principe fondamental : privilégier l'excellence et l'impact, tout en restant un plan ouvert et capable d'évoluer face aux enjeux émergents.

À PROPOS de VARIANT.

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

VARIANT prépare actuellement la phase réglementaire préclinique de son candidat principal VAR002, avec le lancement d'une étude de toxicologie prévue en 2026, étape clé avant l'entrée en clinique. Deux essais cliniques de phase I/II sont d'ores et déjà en préparation : le premier, mené en collaboration avec le Centre des Maladies Oculaires Rares de l'Université de Campanie Luigi Vanvitelli à Naples, portera sur les dystrophies rétiniennes héréditaires dues à des mutations du gène CRX et le second, conduit avec le service d'ophtalmologie de l'Hôpital Necker – Enfants Malades (AP-HP, Paris), visera les ciliopathies rétiniennes, un ensemble de maladies rares sans traitement disponible.

À PROPOS de l'Institut Imagine

Situé sur le campus de l'hôpital Necker-Enfants malades, l'Institut Imagine est leader mondial de recherche, de soins et d'enseignement sur les maladies génétiques. Son architecture singulière, conçue par Jean Nouvel et Bernard Valéro, permet de rassembler en un lieu unique 1 000 chercheurs, médecins, enseignants-chercheurs, ingénieurs et personnels de santé autour des patients, dans l'ambition d'accélérer la recherche et l'innovation diagnostique et thérapeutique pour changer la vie des familles touchées par les maladies génétiques. Labellisé Institut Hospitalo-Universitaire (IHU, en 2011 et 2019) et Institut Carnot (2020), l'Institut Imagine est soutenu par ses six membres fondateurs, dont l'AP-HP, l'Inserm et l'Université Paris Cité, et par des partenaires et mécènes privés. Chaque jour en France, 64 bébés naissent avec une maladie génétique. Près de 8 000 maladies génétiques touchent plus de 3 millions de personnes, dont près d'une sur deux n'a pas de diagnostic et plus de 8 sur 10 n'a pas de traitement dédié. Face à cette urgence de santé publique, le défi est double : diagnostiquer et guérir.

À PROPOS du CNRS

Acteur majeur de la recherche fondamentale à l'échelle mondiale, le Centre national de la recherche scientifique (CNRS) est le seul organisme français actif dans tous les domaines scientifiques. Sa position singulière de multi-spécialiste lui permet d'associer les différentes disciplines scientifiques pour éclairer et appréhender les défis du monde contemporain, en lien avec les acteurs publics et socio-économiques. Ensemble, les sciences se mettent au service d'un progrès durable qui bénéficie à toute la société.

À PROPOS du CERTO

Le CERTO est un laboratoire privé de l'association Retina France, intégré à l'Institut des neurosciences Paris-Saclay (NeuroPSI - CNRS/Université Paris-Saclay). Outre ses projets de recherche internes, le CERTO développe des partenariats de recherche avec des laboratoires académiques et des sociétés de biotechnologie.

À PROPOS de Retina France

Créée en 1984, Retina France est une association à but non lucratif. Elle est reconnue d'utilité publique depuis le 6 novembre 1998. Ses objectifs sont de : 1) Regrouper les personnes concernées par les maladies de la vue afin de les informer, leur apporter assistance sociale et humanitaire. Aider les familles et les malades à surmonter les difficultés liées à leur handicap. 2) Promouvoir, encourager, faciliter la Recherche thérapeutique. 3) Entreprendre, d'une façon générale, par tous moyens, toutes actions susceptibles d'informer et d'intéresser le public et les malades sur les buts de l'Association, les résultats obtenus par elle et par les travaux des chercheurs et des scientifiques.

Soutenu par GOUVERNEMENT Liberté Égalité Fraternité — FRANCE 2030 — bpifrance SERVIR L'AVENIR

Contact

Alexandrine MAHOUDEAU

contact@variant.paris

https://variant.paris/

Cliquez et entrez en contact avec nous sur LinkedIn

VARIANT announces France 2030 funding for its VAR002 gene therapy project targeting inherited retinal dystrophies

Paris, November 3, 2026 – The consortium led by VARIANT, in partnership with CNRS, RETINA FRANCE and Institut *Imagine* (Inserm, AP-HP, Université Paris Cité), has reached a key milestone securing **€7.2 million** in **France 2030** funding for its VAR002 project, a gene therapy designed to treat several forms of inherited retinal dystrophies with a single product. The project was selected following the i-Démo generic 4 call for projects, which supports the development of innovative biomedicines. This support, notified by the Prime Minister, marks a strategic milestone for VARIANT and its partners: it will enable them to accelerate the development of VAR002 gene therapy and prepare for its entry into clinical trials for the benefit of patients with inherited retinal dystrophies.

VAR002: a French therapy at the heart of the national innovation strategy

Following a rigorous evaluation by an independent expert committee, the VAR002 project led by VARIANT in collaboration with CNRS and Institut *Imagine,* was recognized for its scientific excellence and alignment with **France 2030** objectives. This recognition translates into a government contribution to VARIANT of up to **€4,550,670** to support the project's implementation, complementing a **€2,000,000** seed round raised through the private wealth management advisory firms of **Groupe Emeraude**.

By bringing together the French biotech company VARIANT, CNRS and Institut *Imagine*, VAR002 bridges academic research and therapeutic development in the fight against rare diseases. This project thereby strengthens France's innovation capabilities and ensures the development of new therapies remains in France.

"This France 2030 support is a strong recognition of the scientific maturity of our approach. It gives us the means to accelerate the preclinical and regulatory development of VAR002 over the next 60 months, with two clear objectives: to prepare our gene therapy for clinical development and to broaden its therapeutic potential." – Denis Cayet, President and Founder of VARIANT.

The ambitions of the VAR002 project

Inherited retinal dystrophies affect approximately 1 in 4,000 people and are the leading cause of genetic blindness in young adults. They gradually destroy photoreceptors, the retinal cells that capture light, causing severe vision loss that often progresses to blindness.

These diseases are difficult to treat because they are highly diverse. Conventional gene therapy involves replacing a defective gene with a healthy copy, meaning that each gene requires its own treatment. To date, only one gene therapy, Luxturna, is approved in Europe for these diseases, and it is indicated solely for patients carrying mutations in the *RPE65* gene. The vast majority of patients therefore lack a viable therapeutic option.

VAR002 was designed to address this unmet medical need through a "gene-agnostic" approach: rather than correcting each gene individually, it delivers an additional copy of the *CRX* gene to photoreceptors. This gene encodes a transcription factor, a protein that controls the activity of many other genes essential for vision. Through this strategy, VAR002 seeks to keep photoreceptors alive and preserve their function, even when the mutation affects a gene other than *CRX*.

"Inherited retinal dystrophies involve more than 450 genes. With VAR002, we are exploring an innovative approach targeting CRX, a central regulator of retinal development and function, to act on a mechanism shared by several dystrophies, regardless of the responsible gene." said Jérôme Roger, CSO of VARIANT and researcher at CNRS.

"France 2030 funding enables us to advance this approach to a first clinical trial at Necker–Enfants Malades Hospital, building on our expertise in CEP290-related ciliopathies." said Jean-Michel Rozet, Inserm Research Director and Head of a team at Institut Imagine (Inserm, AP-HP, Université Paris Cité).

The VAR002 project is already well underway

France 2030 funding will support (i) the production of a clinical-grade vector and (ii) the regulatory toxicology studies scheduled for 2026/27, with the aim of (iii) initiating a Phase I/II clinical trial with Necker–Enfants Malades Hospital (Paris) in retinal ciliopathies.

Our research also aims to expand VAR002's therapeutic potential to new indications for which no treatment is currently available.

ABOUT VAR002

VAR002 is a next-generation gene therapy developed by VARIANT to treat inherited retinal dystrophies, regardless of whether the underlying mutation has been identified. The treatment is based on the transcription factor CRX, probably the most central of the natural regulators of the genetic program of photoreceptors, the key cells for vision, namely cones and rods.

Unlike conventional approaches that replace a defective gene with a healthy copy, VAR002 reactivates CRX-governed gene networks in order to restore visual function. By delivering CRX directly to photoreceptors via a recombinant adeno-associated viral vector (rAAV) specifically active in these cells, VAR002 reactivates dormant photoreceptors differentiation, particularly in cones, stimulates neuronal survival and compensates for the partial loss of function in altered proteins. This so-called gene-agnostic strategy targets not only diseases linked to CRX itself but also many other conditions for which no treatment has been available to date.

ABOUT France 2030

France 2030 is the Government's investment plan to position France as a leader in the world of tomorrow. With a budget of €54 billion over five years, this ambitious and selective program aims to accelerate innovation in strategic sectors: industrial decarbonization, renewable and nuclear energy, the transport of the future, sustainable food, cultural and creative content, artificial intelligence, biotechnology and healthcare. The program supports the entire innovation life cycle, from research to industrialization, relying on public operators (ANR, ADEME, Bpifrance and Banque des Territoires). France 2030 is built on a fundamental principle: prioritizing excellence and impact, while remaining an open plan capable of adapting to emerging challenges.

ABOUT VARIANT

VARIANT is a French biotechnology company specializing in the development of innovative gene therapy solutions for inherited retinal diseases. The company focuses its efforts on harnessing retinal transcription factors to restore photoreceptor function in severe retinal dystrophies.

VARIANT is currently preparing the preclinical regulatory phase for its lead candidate, VAR002, with the launch of a toxicology study planned for 2026, a key step before clinical development. Two Phase I/II clinical trials are already in preparation: the first, conducted in collaboration with the Centre for Rare Eye Diseases at the University of Campania Luigi Vanvitelli in Naples, will focus on inherited retinal dystrophies caused by mutations in the CRX gene; the second, conducted with the ophthalmology department of Necker–Enfants Malades Hospital (AP-HP, Paris), will target retinal ciliopathies, a group of rare diseases for which no treatment is available.

ABOUT Institut Imagine

Located on the campus of Necker–Enfants Malades Hospital, Institut Imagine is a world leader in research, care and education relating to genetic diseases. Its distinctive architecture, designed by Jean Nouvel and Bernard Valéro, brings together in one place 1,000 researchers, physicians, teacher-researchers, engineers and healthcare professionals around patients, with the ambition of accelerating diagnostic and therapeutic research and innovation to change the lives of families affected by genetic diseases. Awarded Institut Hospitalo-Universitaire (IHU) status (in 2011 and 2019) and Institut Carnot status (2020), Institut Imagine is supported by its six founding members, including AP-HP, Inserm and Université Paris Cité, as well as private partners and sponsors. Every day in France, 64 babies are born with a genetic disease. Nearly 8,000 genetic diseases affect more than 3 million people, of whom nearly one in two has no diagnosis and more than eight in ten have no dedicated treatment. Faced with this public health emergency, the challenge is twofold: diagnose and cure.

ABOUT CNRS

As a major global player in fundamental research, the French National Centre for Scientific Research (CNRS) is the only French organization active across all scientific fields. Its unique position as a multi-specialist enables it to bring together different scientific disciplines to shed light on and address the challenges of the contemporary world, in connection with public- and private-sector stakeholders. Together, the sciences serve sustainable progress that benefits society as a whole.

ABOUT CERTO

CERTO is a private laboratory of the Retina France association, integrated into the Paris-Saclay Institute of Neuroscience (NeuroPSI – CNRS/Université Paris-Saclay). In addition to its internal research projects, CERTO develops research partnerships with academic laboratories and biotechnology companies.

ABOUT Retina France

Founded in 1984, Retina France is a non-profit organization. It has been recognized as being of public utility since 6 November 1998. Its objectives are to: 1) bring together people affected by visual diseases in order to inform them and provide social and humanitarian assistance; help families and patients overcome the difficulties associated with their disability; 2) promote, encourage and facilitate therapeutic research; 3) more generally, undertake by all means any action likely to inform and engage the public and patients regarding the Association's aims, the results achieved and the work of researchers and scientists.

Soutenu par GOUVERNEMENT Liberté Égalité Fraternité — FRANCE 2030 — bpifrance SERVIR L'AVENIR

Contact

Alexandrine MAHOUDEAU

contact@variant.paris

https://variant.paris/

Click and get in touch with us on LinkedIn