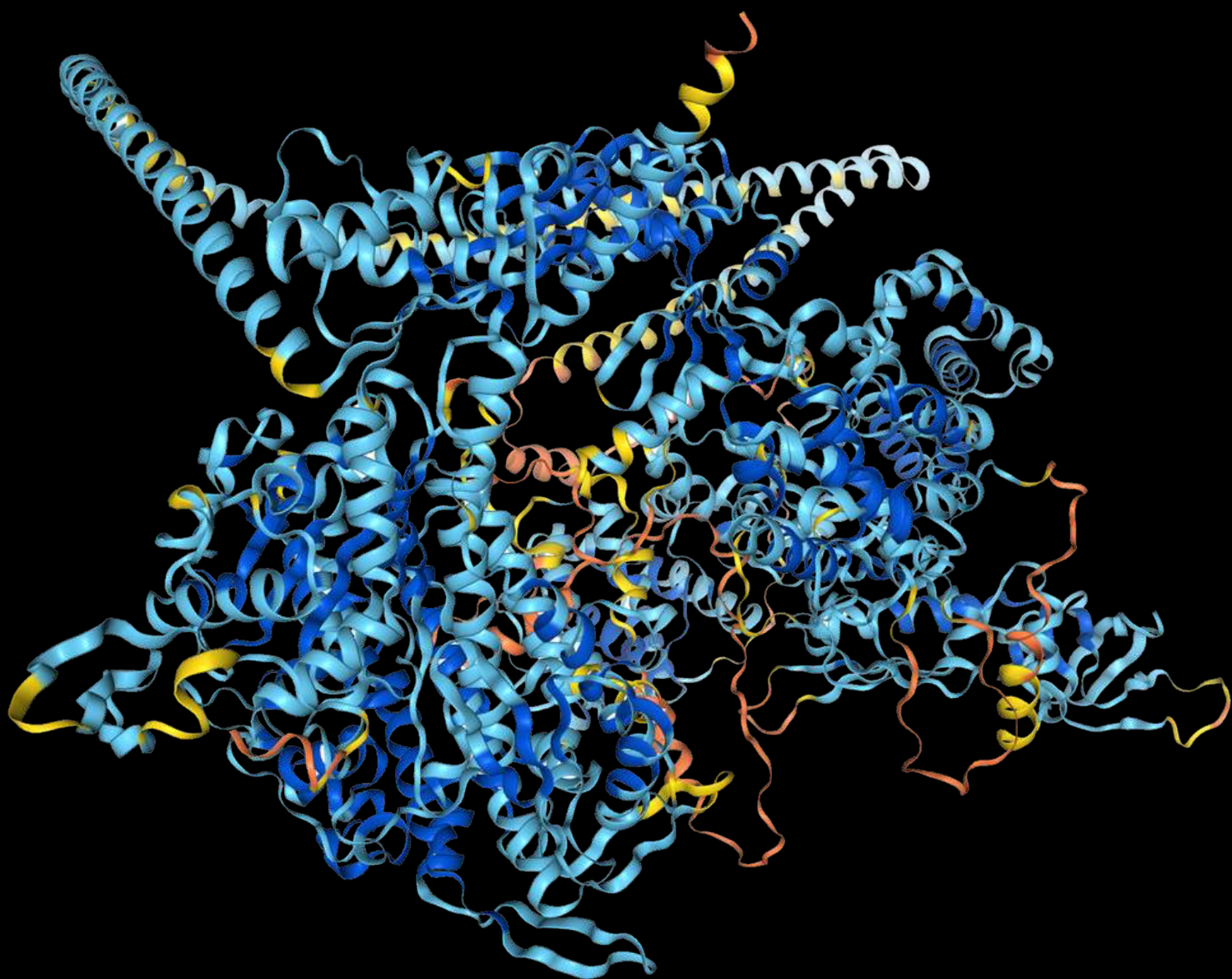




Structure MYO7A © 2021 DeepMind Technologies Limited — AlphaFold DB (alphafold.ebi.ac.uk), CC-BY 4.0.

Rapport Annuel 2025

**SAVE
SIGHT
NOW.**

EUROPE

Derrière chaque programme de recherche, chaque action et chaque accord, il y a une certitude : le temps compte.

Nous travaillons pour qu'aucune famille n'ait à vivre ce que nous avons vécu, et pour que les filles et les garçons atteints du syndrome de Usher 1B aient un avenir avec toute la lumière qu'ils méritent.

Contact

SAVE SIGHT NOW EUROPE



Espagne :
Fundació síndrome de Usher
Carrer Bolívia, 37
08018 Barcelone, Espagne



Berta Adell Cofondatrice et Présidente
berta@savesightnoweurope.org

Arnau Espinosa Cofondateur
arnau@savesightnoweurope.org

Suisse:
Association Save Sight Now Europe
Switzerland
Chemin de l'Armoise, 10
Chêne-Bougeries, Suisse

FAIRE UN DON



Compte bancaire espagnol

IBAN : ES12 2100 0841 9902 0117 0842
BIC : CAIXESBBXXX
TITULAIRE : Fundació Síndrome de Usher

Compte bancaire suisse

IBAN : CH21 0021 5215 1626 4240 J
BIC : UBSWCHZH80A
TITULAIRE : Association Save Sight Now Europe (Switzerland)



Giving Europe | Italie

Fondo Filantropico Italiano ETS
Adresse : Via Giovanni Bovio 6, 20159 Milan
Banque : Intesa Sanpaolo
Branch 55000 – Milan – Italy
Numéro de compte : 1000/00155347
IBAN: ITO4 B030 6909 6061 0000 0155 347

Référence de paiement : GIVING EUROPE – NOM DU BÉNÉFICIAIRE – PAYS DU BÉNÉFICIAIRE.

01 L'organisation

Message de la présidente : quand tout commence à fleurir	04
Une organisation pour le syndrome de Usher 1B	06
1.1 Ce que nous avons construit jusqu'ici	06
1.2 Ce qui a mûri en 2025	07
1.3 Ce qui n'a pas changé	07

02 Le syndrome de Usher

Une maladie qui n'attend pas	09
2.1 Pourquoi le gène MYO7A complique tout	09
2.2 Le début de l'ère clinique	10
2.3 Ce que signifie vivre avec	10
2.4 D'ultra-rare à stratégiquement prioritaire	11

03 Recherche et science

La science progresse ; nous l'accélérons.	13
3.1 Présence scientifique : où nous avons été et pourquoi c'est important	13
3.2 Programas activos	15
3.3 Nouvelles voies explorées en neuroprotection : plus de chemins pour ralentir la dégénérescence	19
3.4 Le domaine à l'échelle mondiale : où en est la recherche en 2025	20
3.5 2026, déjà en marche	21

04 Actions, visibilité et collecte de fonds

Science et communauté : deux facettes d'un même combat	23
4.1 Le documentaire <i>Per la Bruna</i>	23
4.2 Présence médiatique et sensibilisation	24
4.3 Collecte de fonds : le Mouvement USH et Usher Partners	26
4.4 Usher Partners 2026 : structurer le financement pour grandir	28

05 Gouvernance et transparence

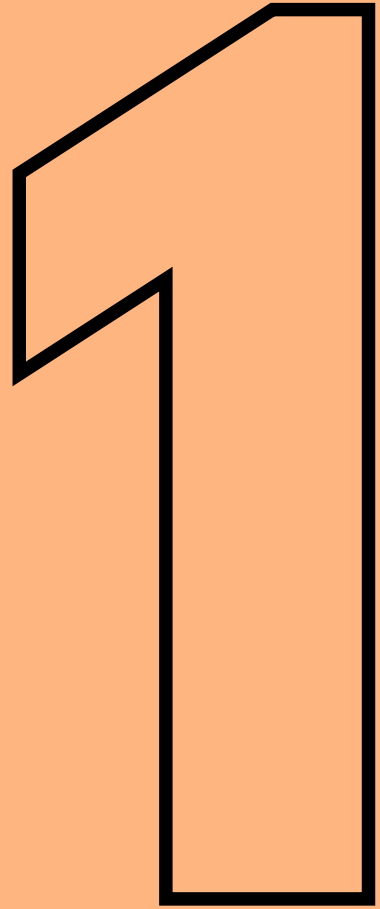
Une organisation qui grandit avec rigueur	30
5.1 Conseil d'administration de la Fundació Síndrome de Usher	30
5.2 Comité de direction de l'Association Save Sight Now Europe Switzerland	30
5.3 Assemblée générale – Association SSNE Switzerland	30
5.4 Comité scientifique consultatif (SAB) : comment nous décidons de l'orientation des fonds	31

06 Les Finances

Rapport d'activité et rapport financier 2025 de la FSU et du SSNEU (Suisse)	34
6.1 Fundació Síndrome de Usher Espagne	35
6.2 Association Save Sight Now Europe Switzerland	43

07 Remerciements

Remerciements	47
---------------	----



L'organisation

Message de la présidente : quand tout commence à fleurir

Il y a des années qui se construisent. Et il y a des années qui fleurissent. 2025 a été, pour Save Sight Now Europe, l'année où beaucoup des graines que nous avons plantées avec patience, avec urgence et avec une grande dose de foi dans la science, dans les personnes, en nous-mêmes, ont commencé à porter des fruits visibles.

C'est la troisième année de la Fundació Síndrome de Usher et la quatrième de l'Association Save Sight Now Europe Switzerland. Quatre ans depuis le diagnostic de notre fille. Quatre ans depuis cette conversation chez le médecin qui a bouleversé nos vies et a allumé, en même temps, une détermination que nous n'avons cessé d'entretenir un seul jour.

Mais il serait faux de dire que le diagnostic n'a été un tournant qu'à ce moment-là. La vérité, qui n'est pas toujours facile à dire à voix haute, c'est que le diagnostic continue. Ce n'est pas un fait du passé : c'est une réalité qui se renouvelle chaque jour, qui avance avec notre fille, qui se manifeste quand nous voyons les premiers signes que d'autres familles connaissaient déjà et que nous, maintenant, commençons à reconnaître. La maladie n'attend pas. Le champ visuel se rétrécit. Et l'urgence qui nous a poussés à créer la Fondation n'a pas diminué ; au contraire, elle grandit.

Et c'est précisément pour cela que tout ce que nous avons construit a un sens profond. Nous n'avons pas créé la Fondation quand la situation était urgente. Nous l'avons créée parce que nous savions que l'urgence approchait. Parce que nous ne voulions pas arriver au moment où notre fille nous demanderait s'il existait un traitement et n'avoir rien à lui montrer. Parce que les familles qui avaient vécu ce que nous vivons nous ont appris, avec leur générosité et leur lumière, que le temps est la seule chose qui ne se récupère pas.

Quatre ans à parler avec des chercheurs à six heures du matin et à minuit. Quatre ans dans des congrès internationaux, à prendre des notes, à poser des questions, à relier les points. Quatre ans à organiser des événements avec des bénévoles incroyables, à appeler des entreprises, à expliquer l'Usher 1B aux médias encore et encore jusqu'à ce que le nom commence à sonner familier. Quatre ans à financer des programmes de recherche qui donnent aujourd'hui des résultats. Quatre ans à construire un réseau européen qui, en 2025, a franchi un saut qualitatif sans précédent.

Cette année, nous avons signé notre premier accord avec l'équipe du Dr Aziz El Amraoui et de la Dre Sandrine Vitry à l'Institut Pasteur de Paris. Nous avons formalisé la collaboration avec RetinAI et l'Institut de la Vision ; une alliance qui met l'intelligence artificielle au service du diagnostic précoce et des futurs essais cliniques pour l'Usher 1B. Nous avons continué à financer le programme du Prof. Becirovic à Zurich. Nous avons présenté publiquement le documentaire Per la Bruna, réalisé par Carla Roda, qui raconte notre histoire avec une honnêteté qui nous a fait rire et pleurer à la fois. Nous étions à l'ARVO, à Nimègue, à Milan, à Paris, à Barcelone, et partout nous avons planté de nouvelles graines.

Et derrière tout cela, la communauté. Les familles qui organisent des événements solidaires. Les 589 étudiants de Fribourg qui ont couru pour la recherche. La famille Meyer, qui année après année organise une Soirée qui touche les cœurs et récolte des fonds. Les voix d'Aitana Bonmatí, Berto Romero, Raquel Sans, Julio Manrique et tant d'autres qui ont amplifié notre voix jusqu'à des endroits que nous n'aurions jamais pu atteindre seuls. Et les familles concernées, celles qui nous ont précédés sur ce chemin et celles qui nous rejoignent maintenant, qui nous rappellent chaque jour pourquoi tout cela compte.

Nous présentons ce rapport avec la vérité de tout ce qu'a été cette année : une année dure, très travaillée, pleine de moments de doute et de moments de lumière. Une année qui a démontré que, lorsque la science et la communauté avancent ensemble, le changement est possible.

Nous ne savons pas quand le traitement arrivera. Mais nous savons que nous faisons tout notre possible pour qu'il arrive le plus vite possible. Chaque année qui passe nous rapproche du but.

Pour Bruna. Pour toutes les filles et tous les garçons comme elle.

Berta Adell Palau — Cofondatrice et Présidente, Save Sight Now Europe



Berta Adell Palau
Co-fundadora y Presidenta

Une organisation pour le syndrome de Usher 1B

Quatre ans, ce n'est pas beaucoup de temps dans le monde de la recherche biomédicale, où un programme préclinique peut mettre une décennie à atteindre la clinique, mais c'est très long quand on est une famille qui vit la maladie chaque jour et qui sait que l'horloge ne s'arrête pas.

En quatre ans, Save Sight Now Europe est passée d'une idée née d'un diagnostic à un acteur reconnu de l'écosystème scientifique international de l'Usher 1B. Pas par hasard, mais parce que nous avons appris vite, construit avec rigueur et maintenu constamment le cap sur l'essentiel : faire en sorte que la science parvienne aux patients.

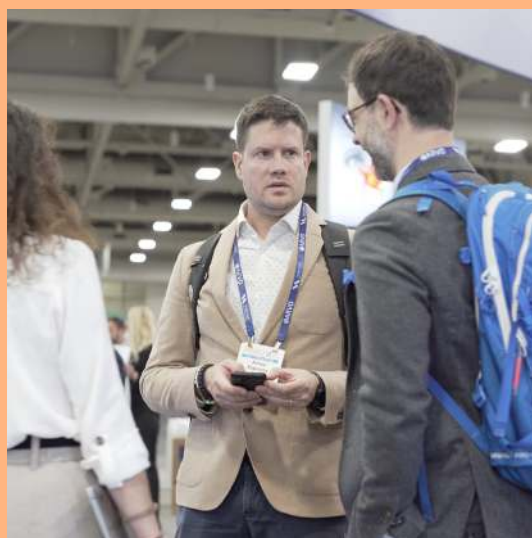
1.1 Ce que nous avons construit jusqu'ici

Quand nous avons commencé, il n'existait en Europe aucun programme de recherche spécifique pour l'Usher 1B financé par une organisation de patients. Aujourd'hui, SSNEU co-porte et finance des programmes actifs dans cinq centres de référence en Europe et en Amérique du Nord (Institut Pasteur – reConnect, Institut de la Vision, Université de Zurich, Johannes Gutenberg University Mainz et Université du Wisconsin-Madison).

Depuis sa fondation, les deux entités de SSNEU ont mobilisé plus de 2,5 millions d'euros pour la recherche sur l'Usher 1B. Ce chiffre inclut les fonds collectés et distribués par les deux entités de SSNEU (Fundació Síndrome de Usher en Espagne et Association Save Sight Now Europe Switzerland), ainsi que des prix et financements d'autres fondations plus importantes (comme la Foundation Fighting Blindness) que SSNEU a aidé à orienter spécifiquement vers l'Usher 1B.

Les comptes publiés au chapitre 6 présentent les deux entités séparément : la Fundació Síndrome de Usher à la section 6.1, et l'Association Save Sight Now Europe Switzerland à la section 6.2.

Par ailleurs, notre positionnement a évolué : SSNEU est aujourd'hui un hub de connexion, un point de rencontre où chercheurs, cliniciens, entreprises et familles convergent. Nous organisons, nous finançons, nous connectons, nous impulsions. Et de plus en plus, quand un chercheur veut savoir où se trouve la communauté des patients Usher 1B en Europe, c'est à nous qu'il s'adresse.



1.2 Ce qui a mûri en 2025

Cette année, le réseau s'est élargi dans deux nouvelles directions. Sur le plan scientifique, nous avons formalisé des collaborations qui n'étaient jusqu'ici que des conversations : le programme avec l'Institut reConnect (Institut Pasteur) est désormais un contrat, et non une promesse. Et nous avons continué à élargir l'éventail des thérapies que nous suivons de près : de la thérapie génique dual-AAV aux oligonucléotides antisens, de la neuroprotection avec la NACA aux possibilités de l'édition de bases, car dans les maladies ultra-rares, aucune piste prometteuse ne peut être écartée.

Sur le plan géographique, nous avons entamé fin d'année notre présence en Italie. Grâce à la plateforme Giving Europe, qui permet aux donateurs italiens de faire des dons fiscalement déductibles à SSNEU, nous pourrions financer une partie des besoins nécessaires pour faire avancer le programme UNI-RARE au centre de Brescia du Dr Giacomo Calzetti. L'Italie possède une communauté Usher active et des chercheurs engagés, et cette étape nous ouvre une porte que nous n'avions pas jusqu'à présent.

1.3 Ce qui n'a pas changé

L'urgence. La détermination. Et la conviction qu'une organisation petite, agile et concentrée peut faire bouger plus de choses que des structures bien plus grandes, si elle sait où et quand pousser.

Notre fille nous a montré le vide. Quatre ans plus tard, ce vide est bien plus petit.





Le syndrome de Usher

Une maladie qui n'attend pas

Le syndrome de Usher de type 1B est une maladie génétique ultra-rare causée par des mutations du gène MYO7A. Il affecte trois sens à la fois : l'audition, l'équilibre et la vision. Les enfants naissent avec une surdité profonde bilatérale et un système vestibulaire compromis (sans l'équilibre naturel que la plupart d'entre nous tenons pour acquis dès le premier jour de vie). Et pendant l'enfance commence la perte progressive de la vision due à la rétinite pigmentaire : d'abord la vision nocturne, puis le champ périphérique, jusqu'à la vision tubulaire et, dans de nombreux cas, la cécité complète avant l'âge adulte.

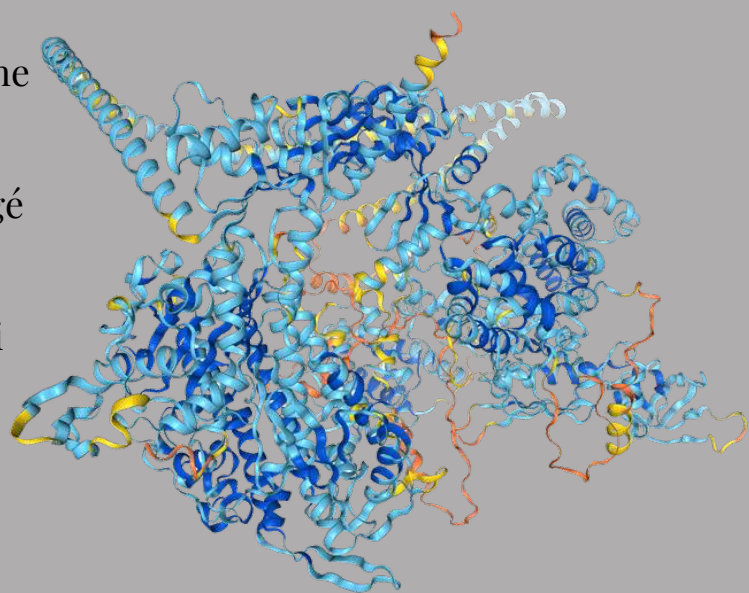
Le syndrome de Usher est la cause la plus fréquente de surdicécité génétique au monde. Il représente jusqu'à 50 % de tous les cas de surdicécité, et pourtant, jusqu'à récemment, la recherche spécifique sur cette forme de la maladie était pratiquement inexistante.

2.1 Pourquoi le gène MYO7A complique tout

La plupart des thérapies géniques actuelles utilisent des vecteurs AAV — de petits véhicules viraux modifiés — pour transporter une copie fonctionnelle du gène affecté jusqu'aux cellules de la rétine.

Le problème de l'Usher 1B est que le gène MYO7A est exceptionnellement grand : trop grand pour tenir dans un seul vecteur AAV conventionnel. Cela a obligé les chercheurs à développer des stratégies à double vecteur (dual-AAV), où le gène est divisé en deux parties qui doivent se réassembler correctement à l'intérieur de la cellule.

Une solution élégante, mais techniquement bien plus complexe, ce qui explique pourquoi le domaine a mis plus de temps à progresser et pourquoi chaque avancée a une valeur particulière.



Structure MYO7A © 2021 DeepMind Technologies Limited
AlphaFold DB (alphafold.ebi.ac.uk), CC-BY 4.0.

Gen MYO7A

Infórmate de los programas y cómo trabajamos para resolver las mutaciones en este gen en www.savesightnoweurope.org

2.2 Le début de l'ère clinique

2025 a marqué un tournant qu'il faut nommer clairement : pour la première fois dans l'histoire, un essai clinique actif chez l'humain existe pour l'Usher 1B. L'essai LUCE-1, mené par AAVantgarde Bio avec la technologie dual-AAV du Dr Alberto Auricchio (TIGEM, Naples), a traité les premiers patients et a présenté à l'ARVO 2025 des données de sécurité positives à 60 jours.

En janvier 2026, le recrutement a été achevé avec 15 patients adultes. Ce n'est pas un traitement approuvé. Ce n'est pas un remède. Mais c'est la démonstration que la chaîne allant du laboratoire au patient est réelle et praticable.

En parallèle, le domaine s'est ouvert dans plusieurs directions à la fois. Les oligonucléotides antisens (ASO), une approche jusqu'ici jugée peu viable pour l'Usher 1B, ont fait leur entrée dans l'agenda scientifique. Les thérapies antioxydantes comme la NACA ont démontré, dans un essai contrôlé, qu'elles peuvent réduire de plus de 50 % la perte de la zone ellipsoïde — la bande de rétine où les photorécepteurs fonctionnent encore — chez les patients atteints du syndrome de Usher, indépendamment de la mutation concernée. Et l'édition génétique, qui permet de corriger une seule lettre du génome sans couper les deux brins d'ADN, atteint déjà des taux de correction très élevés dans des modèles précliniques, bien que pour l'instant sur d'autres maladies de la rétine.

Rien de tout cela n'existait comme option réelle il y a quatre ans.

2.3 Ce que signifie vivre avec

Les statistiques et les avancées scientifiques expliquent le domaine. Mais elles n'expliquent pas entièrement ce que signifie grandir et vivre avec l'Usher 1B.

Les enfants concernés arrivent à l'école avec des implants cochléaires qui leur ont ouvert le monde du son. Ils apprennent à communiquer, à socialiser, à courir et à jouer avec une énergie qui dément toute idée préconçue sur la maladie. Mais la rétinite pigmentaire progresse en silence, en dessous du seuil de la conscience quotidienne, jusqu'à ce que, soudain, une marche non vue, un visage non reconnu dans la pénombre ou un champ visuel qui s'est encore rétréci rappellent à la famille où en est l'horloge.

C'est une maladie qui combine la résilience extraordinaire des filles et des garçons qui la vivent avec la pression constante du temps. Et c'est précisément cette combinaison — la vie pleine qui est possible aujourd'hui, et la menace qui grandit si nous n'agissons pas — qui donne son sens à tout ce que fait Save Sight Now Europe.



Para más información sobre el síndrome de Usher, visita www.savesightnoweurope.org

2.4 D'ultra-rare à stratégiquement prioritaire

L'Usher 1B touche environ une personne sur 130 000. Suffisamment rare pour rester hors du radar de l'industrie pharmaceutique conventionnelle. Mais suffisamment fréquent pour disposer d'une communauté, de chercheurs engagés et de modèles animaux robustes.

Aujourd'hui, l'Usher 1B est bien caractérisé génétiquement : c'est une maladie monogénique, causée par un seul gène. Un excellent candidat pour les nouvelles thérapies de précision. Et suffisamment sévère et d'apparition précoce pour justifier toute l'urgence du monde.

En mai 2025, l'Organisation mondiale de la Santé a adopté sa première résolution formelle sur les maladies rares, reconnaissant la nécessité mondiale de promouvoir l'accès au diagnostic, au traitement et aux soins. C'est une reconnaissance institutionnelle importante. Mais pour les familles qui vivent l'Usher 1B chaque jour, l'urgence n'a attendu aucune résolution. Cela faisait des années que nous agissions.





**Recherche et
science**

La science progresse ; nous l'accélérons.

Faire avancer la recherche sur une maladie ultra-rare ne consiste pas seulement à financer des laboratoires. C'est comprendre où en est le domaine, identifier les manques, connecter des équipes qui ne se connaissent pas toujours entre elles, et pousser dans la bonne direction au bon moment. 2025 a été l'année où cette tâche — invisible pour beaucoup, centrale pour nous — a porté ses fruits les plus tangibles à ce jour.

Six mots pour comprendre ces pages

1. **Gène / protéine** — le gène est l'instruction ; la protéine est l'outil qui en résulte. Dans l'Usher 1B, l'outil MYO7A fait défaut.
2. **AAV** — « l'enveloppe » virale qui fait entrer un gène dans une cellule. Le problème : le gène MYO7A n'y tient pas.
3. **Dual-AAV** — diviser le gène en deux enveloppes et laisser les deux parties se réunir à l'intérieur de la cellule.
4. **Édition génétique** — corriger la lettre erronée du gène, plutôt que de le remplacer entièrement.
5. **Organoïde** — une « mini-rétine » cultivée en laboratoire à partir de cellules d'un patient.
6. **Explant** — tissu de rétine humaine donné, maintenu vivant quelques semaines pour y tester des traitements.

3.1 Présence scientifique : où nous avons été et pourquoi c'est important

La présence de SSNEU dans les lieux où se décide l'avenir de l'Usher 1B n'est pas symbolique : elle est stratégique. Chaque congrès, chaque réunion bilatérale, chaque conversation de couloir entre sessions scientifiques est une occasion d'apprendre, de nouer des liens et d'accélérer les traitements pour les milliers d'enfants qui vivent chaque jour avec les défis d'une triple perte sensorielle.

Pour eux, la Fondation continue de travailler année après année, sans relâche, afin que l'Usher cesse d'être une maladie sans réponse.



ARVO 2025 — Salt Lake City, mai 2025

Le congrès annuel de l'Association for Research in Vision and Ophthalmology est le plus grand rendez-vous mondial de la recherche en ophtalmologie. En 2025, nous y avons vu les premières données cliniques de l'histoire concernant l'Usher 1B : les résultats des deux premiers patients traités dans l'essai LUCE-1, avec une bonne sécurité à 60 jours et les premiers signes d'amélioration fonctionnelle.

Pour SSNEU, l'ARVO est aussi le lieu où se maintient et s'approfondit la relation avec les chercheurs des programmes que nous soutenons, où l'on prend le pouls des nouveaux projets et où naissent les liens qui deviennent ensuite des collaborations.



USH2025 — Nimègue, juin 2025

Le congrès mondial du syndrome de Usher a réuni pour la première fois depuis Mayence en 2018 la communauté scientifique et les familles du monde entier. Sept ans plus tard, le bilan est différent : le domaine a mûri ; il est entré dans la clinique et ne discute plus de savoir si les traitements arriveront, mais lesquels et quand.

Pour SSNEU, ce fut aussi un lieu de travail. De ces conversations est né, quelques semaines plus tard, le consortium de cinq groupes de recherche qui structure aujourd'hui une bonne partie de notre portefeuille.



3.2 Programmas activos

Programa	Centro	Foco	Estado
reConnect	Institut reConnect, Paris	Thérapie génique dual-AAV MYO7A	NOUVEAU T4 2025
RetinAI + Institut de la Vision	Berne/ Paris	Données et IA	NOUVEAU 2025
Becirovic	Uni. de Zurich	Dual-AAV + CRISPRa	En cours
Wolfrum	JGU Mayence	Modèle porcin + organoïdes	En cours
D. Gamm	Uni. du Wisconsin-Madison	Organoïdes et interactome	Actuellement financé par FFB

NOUVEAU EN 2025

Dr Aziz El Amraoui et Dre Sandrine Vitry, Institut reConnect (Paris)



C'est le nouveau programme le plus important de l'année.

Le Dr Aziz El Amraoui est l'un des scientifiques au monde qui connaît le mieux la protéine MYO7A : ce qu'elle fait dans les cellules de l'oreille interne et de l'organe de l'équilibre, ce qu'elle fait dans les photorécepteurs de la rétine, et pourquoi son absence provoque la perte simultanée de l'audition, de l'équilibre et de la vue. La Dre Sandrine Vitry apporte son expertise en vecteurs et en modèles animaux.

Le problème, en une phrase : le gène MYO7A est trop grand pour tenir dans le véhicule que la thérapie génique utilise pour entrer dans les cellules. Tout le défi consiste à le faire arriver entier malgré cette limitation.

Ce qu'ils ont testé, et ce qui fonctionne : l'équipe a comparé trois stratégies côte à côte. Forcer le gène entier dans un seul vecteur n'a pas fonctionné. Le raccourcir pour qu'il tienne récupère certaines fonctions de la protéine, mais pas toutes. Le diviser en deux moitiés qui se réunissent à l'intérieur de la cellule (ce qu'on appelle le dual-AAV) fonctionne, et c'est là que se concentre désormais tout l'effort.

Le résultat de 2025 : grâce à cette stratégie, l'équipe a réussi à restaurer l'équilibre de manière robuste et reproductible chez deux modèles de souris, dont l'un porte une mutation humaine réelle. La récupération de l'audition reste une question ouverte.

Pourquoi cela compte, alors que notre priorité est la vue : pour deux raisons. La première : les enfants atteints de Usher 1B naissent sans fonction vestibulaire, et il n'existe aucun implant pour la remplacer, contrairement à l'audition. C'est le sens dont presque personne ne parle et pour lequel, aujourd'hui, il n'existe absolument rien. La seconde : l'oreille interne donne des réponses en quelques semaines, alors que la rétine met des mois, voire des années. Si le vecteur arrive, si les deux moitiés se réunissent et si la protéine fait son travail, l'oreille nous le dit en premier ; ce qui permet de gagner du temps et de l'argent avant de tout miser sur l'œil.

Et la rétine : 2026 a marqué le début de la preuve de concept sur l'œil. L'étape suivante, la plus importante pour nous, est de valider les vecteurs sur la rétine humaine donnée, avec le Dr Bence György (IOB Bâle) et le Dr Arnold Szabo (Université Semmelweis).

Une avancée qui passe souvent inaperçue : le brevet. L'Institut Pasteur a protégé cette stratégie par un brevet. Cela peut sembler un détail administratif, mais ce n'en est pas un : aucune entreprise n'investit les centaines de millions que coûte la mise sur le marché d'un traitement sans un brevet pour le soutenir. Son existence signifie que ce que nous avons financé a un chemin possible vers la pharmacie, et non seulement vers une revue scientifique.

C'est le seul programme au monde qui travaille à la fois sur l'œil et sur l'oreille interne. Les deux entreprises qui dominent aujourd'hui le domaine ne traitent que la rétine. Un traitement qui rend la vue mais laisse l'enfant sourd et sans équilibre résout une partie du problème, pas le problème.

RetinAI + Institut de la Vision (Paris) – Accord stratégique



Pour qu'un traitement soit approuvé, il ne suffit pas qu'il fonctionne : il faut pouvoir le démontrer, avec des mesures que les agences du médicament acceptent. Aujourd'hui, pour l'Usher 1B, ces mesures ne sont pas encore totalement définies. Cet accord avec RetinAI et l'Institut de la Vision existe pour résoudre ce problème.

RetinAI est une entreprise suisse spécialisée dans l'analyse d'images rétinienne et la gestion de données cliniques par intelligence artificielle. Sa technologie permet de traiter de grands volumes d'images de manière structurée et comparable entre les centres. En octobre 2025, elle a été rachetée par EssilorLuxottica, ce qui en fait l'un des principaux acteurs de la santé oculaire numérique au monde.

L'Institut de la Vision de Paris est un centre de référence mondial pour les dystrophies rétiniennes héréditaires. L'équipe liée à l'Usher 1B comprend la Dre Isabelle Audo, la Dre Deniz Dalkara et le Dr Serge Picaud, directeur scientifique de l'institut.

Avec cet accord, nous avons lancé un travail conjoint pour organiser et analyser les données d'imagerie des personnes atteintes de Usher 1B : détecter les schémas d'évolution, définir des marqueurs fiables et construire la base qui permettra de concevoir et d'évaluer rigoureusement des essais cliniques. **Les images de 22 patients sont déjà sur la plateforme d'analyse, et l'engagement de financement porte sur cinq ans. C'est l'infrastructure la moins visible de tout notre portefeuille et l'une des plus nécessaires.**

PROGRAMMES EN COURS

**Prof. Elvir Becirovic,
Université de Zurich**



**Universität
Zürich**^{UZH}

Ce qui rend ce programme singulier, c'est que le laboratoire n'applique pas une technique de tiers : il en a inventé une lui-même.

Face au même problème (un gène trop grand), tout le domaine divise le gène en deux moitiés et les laisse se réunir à l'intérieur de la cellule. La différence entre les équipes réside dans le moment exact où elles se réunissent, un détail apparemment mineur qui conditionne pourtant l'efficacité et la sécurité de tout le traitement. La technologie de ce laboratoire, appelée **REVeRT** réalise l'union au niveau de l'ARN : le message intermédiaire que la cellule fabrique à partir du gène, juste avant de construire la protéine.

Pourquoi cela nous importe maintenant : parce que REVeRT n'est plus une promesse de laboratoire : elle est testée chez l'humain, dans un essai clinique pour une autre maladie héréditaire de la rétine, avec l'autorisation de l'agence américaine du médicament depuis fin 2024. Le principe consistant à faire entrer un gène trop grand dans une cellule humaine est déjà mis à l'épreuve chez de vrais patients. Ce que nous finançons, c'est son adaptation à notre gène.

Une seconde voie, au cas où la première n'atteindrait pas tout le monde : le gène MYO7B remplit une fonction structurelle très semblable à celle de MYO7A, mais il est éteint dans la rétine. L'équipe travaille à le rallumer — sans modifier sa séquence — et a déjà démontré que cette activation est possible. Si elle finissait par compenser la fonction manquante, l'avantage serait immense : cela fonctionnerait pour tout patient, quelle que soit sa mutation. C'est un pari plus risqué, c'est pourquoi nous le maintenons en parallèle et non en remplacement.

En 2025, le laboratoire a publié le protocole de référence international pour concevoir et évaluer ce type de vecteurs (le manuel qu'utilisera le reste du domaine) ainsi qu'une méthode pour parvenir à un diagnostic génétique chez des personnes restées sans réponse, ce qui touche directement de nombreuses familles avec un diagnostic incomplet.

Le travail spécifique sur le gène MYO7A est en cours et n'a pas encore été publié. L'étape suivante consiste à passer de petits modèles à de grands modèles animaux, le pont obligatoire avant tout essai chez l'humain.

PROGRAMMES EN COURS

Dr Uwe Wolfrum et Dre Kerstin Nagel-Wolfrum — Johannes Gutenberg University Mainz · Dre Zdenka Ellederová — IAPG, République tchèque



L'équipe de Mayence entretient la plateforme préclinique porcine pour l'Usher 1B, en collaboration avec la Dre Zdenka Ellederová de l'Institut de biologie animale et de génétique (IAPG) de la République tchèque, qui apporte son expertise dans la génération et l'entretien des modèles porcins génétiquement modifiés. Le porc est pertinent car son œil a la taille de celui d'un être humain et parce que ses photorécepteurs possèdent des structures que la souris n'a pas et qui dépendent précisément de la protéine MYO7A. C'est le lieu approprié pour se demander si un traitement atteint sa cible dans un œil de taille réelle.

Où nous en sommes, sans fard : les animaux portent une mutation naturelle du gène MYO7A. À 9 mois, ils montrent clairement le problème d'équilibre, mais aucun dommage rétinien pour l'instant, et conservent 20 % de protéines fonctionnelles. Cela permet deux lectures : soit la dégénérescence de la rétine est plus lente et il faut attendre, soit ces 20 % suffisent à maintenir la vision, auquel cas le modèle ne serait pas adapté pour tester des traitements oculaires. La lecture à 18 mois tranchera. D'ici là, nous n'engageons pas davantage de ressources dans des expériences qui en dépendraient.

Ce que cette équipe a appris au domaine en 2025 : ses travaux sur la manière d'injecter un traitement sous la rétine ont donné deux résultats gênants et nécessaires : plus le volume injecté est important, plus la rétine s'amincit ; et dans une étude de thérapie génique chez des porcs atteints de Usher, la chirurgie elle-même a provoqué des dommages dans tous les groupes, y compris le groupe témoin, au point de masquer tout bénéfice. Ce ne sont pas des résultats spectaculaires, mais ils changent la manière dont tous les futurs essais devront être conçus. C'est exactement le type de connaissance qui justifie de financer la recherche préclinique.

La seconde piste : les mini-rétines humaines. En parallèle, la Dre Kerstin Nagel-Wolfrum développe des organoïdes de rétine à partir de cellules de patients. En 2026, son équipe en a publié la caractérisation complète pour l'Usher 1C, identifiant un type de cellule de soutien de la rétine qui perd sa capacité à maintenir sa structure. C'est la même plateforme qui doit maintenant être appliquée à l'Usher 1B.

Trois choses que nous ignorons encore, et qui conditionnent tout :

1. Personne au monde n'a encore démontré de récupération de la vision dans un modèle de Usher 1B. Nous avons la production de protéines, la récupération de l'équilibre, la sécurité chez les patients. La preuve concernant la vision n'existe pas encore.
2. Notre modèle porcine n'a pas encore développé de dommages rétiens. Les données à 18 mois nous diront s'il est utile ou s'il faut changer de plateforme.
3. Nous ne savons pas laquelle des deux formes de la protéine MYO7A doit être administrée. Les programmes actuellement en clinique l'ont choisi par convention, non par preuve. SSNEU travaille sur cette question.

3.3 Nouvelles voies explorées en neuroprotection : plus de chemins pour ralentir la dégénérescence

L'une des décisions stratégiques de SSNEU dès le départ a été de ne pas miser sur une seule voie. Dans les maladies ultra-rares, la diversité des approches est une manière de gérer le risque : si un chemin rencontre des obstacles, d'autres sont en cours. En 2025, nous avons élargi notre champ d'action vers des traitements capables de ralentir la dégénérescence pendant que les thérapies géniques mûrissent.

NACA — N-acétylcystéine amide

Nacuity Pharmaceuticals a présenté les résultats de son essai SLO-RP, mené dans quatre centres en Australie auprès de 49 personnes atteintes du syndrome de Usher pendant deux ans. Le traitement, administré par voie orale, a réduit de plus de 50 % la perte de la zone ellipsoïde (la bande de rétine où les photorécepteurs fonctionnent encore, et la mesure qui suit le mieux la progression de la maladie) et a ralenti de près de 30 % la perte de sensibilité.

C'est le premier traitement dont l'effet a été démontré de manière contrôlée dans une population Usher, et il fonctionne indépendamment de la mutation. Il ne répare rien : il ralentit. L'entreprise a annoncé une étude confirmatoire qui débutera en 2026. Nous la suivons de près avec BeRare Onlus, en Italie.

ASO — Oligonucléotides antisens

En 2025 et 2026, nous avons ouvert sérieusement une voie jusqu'ici inexplorée pour le gène MYO7A. Le précédent dans le domaine Usher est prometteur : l'essai LUNA compte déjà des patients traités avec un médicament de ce type pour la forme la plus fréquente de Usher de type 2.

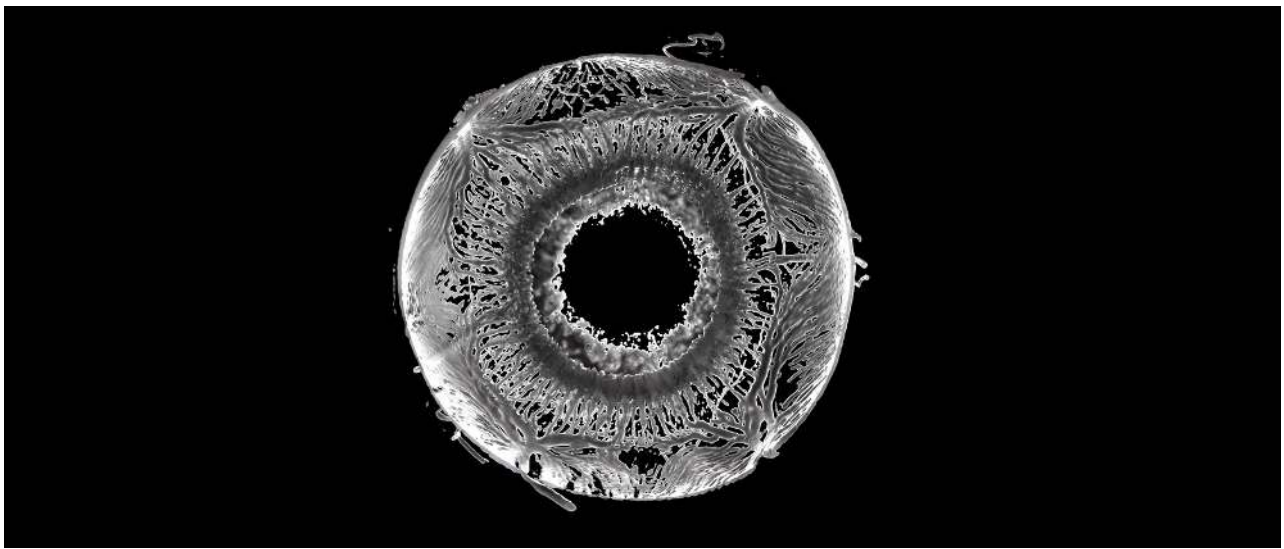
Les limites sont également claires : un ASO ne peut pas remplacer la protéine manquante (c'est le domaine de la thérapie génique) et la plupart de ces stratégies ne fonctionnent que pour une mutation précise. Techniquement, c'est complexe. Mais c'est désormais sur la table, et pour certaines familles, cela pourrait être la voie la plus rapide.

TUDCA —

Acide tauroursodésoxycholique

Le TUDCA agit sur les trois voies principales de la détérioration rétinienne : l'oxydation, l'inflammation et la mort cellulaire. Dans les modèles animaux, il a été le composé le plus efficace parmi tous ceux testés par le groupe de l'Université d'Alicante, avec lequel nous travaillons aux côtés de collègues italiens.

Deux obstacles restent à résoudre, et nous préférons les nommer : la dose efficace chez l'animal correspond à une quantité impossible à administrer par voie orale chez l'humain, ce qui oblige à chercher une administration locale ; et le composé n'a pas encore été testé dans un modèle de Usher, où le problème sous-jacent est structurel et non métabolique. L'avancée du projet en dépendra.



3.4 Le domaine à l'échelle mondiale : où en est la recherche en 2025

Situer le travail de SSNEU dans le contexte mondial n'est pas un exercice de modestie : c'est une nécessité. Ce qui se passe dans d'autres programmes de dystrophies rétiniennes héréditaires définit les outils, les précédents réglementaires et les technologies qui, tôt ou tard, parviendront à l'Usher 1B.

LUCE-1 – AAVantgarde Bio



Le premier essai clinique chez l'humain pour l'Usher 1B est une réalité. Grâce à la technologie dual-AAV développée par l'équipe du Dr Alberto Auricchio, cet essai a présenté en 2025 les données des deux premiers patients : bonne sécurité à 60 jours, acuité visuelle stable et améliorations de la vision en faible luminosité et de la stabilité du regard. En janvier 2026, il a achevé son recrutement avec 15 patients adultes. Ce n'est pas un remède, et le nombre de patients est faible. C'est la démonstration que la voie est possible. La question ouverte est celle de la durabilité.

BlueRock Therapeutics CLARICO



Essai de phase 1/2a avec des cellules précurseurs de photorécepteurs dérivées de cellules souches, chez jusqu'à 54 adultes atteints de maladies primaires des photorécepteurs — une catégorie qui inclut la rétinite pigmentaire et le syndrome de Usher. Plutôt que de protéger ce qui reste, cette approche vise à remplacer ce qui a été perdu. Indépendante de la mutation, elle est donc applicable à tout sous-type.

NAC Attack Johns Hopkins / NEI



Essai de phase 3 avec la N-acétylcystéine : près de 440 patients dans une trentaine de centres aux États-Unis, au Canada, au Mexique et en Europe, avec plus de 20 millions de dollars de financement public. Un antioxydant indépendant de la mutation, agissant sur le même mécanisme que la NACA.

Optogénétique



Quatre entreprises (Ray Therapeutics, GenSight, Bionic Sight et Nanoscope) mènent des essais actifs avec une idée différente : au lieu de réparer le gène, elles rendent sensibles à la lumière des cellules ayant survécu à la dégénérescence. Cela fonctionne quelle que soit la mutation. Nanoscope a entamé en juillet 2025 sa demande d'autorisation auprès de la FDA. C'est pertinent pour l'Usher 1B aux stades avancés, quand la thérapie génique ne peut plus récupérer les photorécepteurs perdus.

3.5 2026, déjà en marche

Milan, janvier 2026

En janvier, l'équipe de SSNEU s'est réunie à Milan avec Alessandro Mennella et Marco Tironi (deux adultes atteints de Usher 1B) ainsi qu'avec l'équipe de BeRare Onlus. Ce fut le point de départ d'une collaboration italienne qui a déjà porté ses premiers fruits : le soutien au programme UNI-RARE du Dr Giacomo Calzetti, à Brescia, et l'ouverture d'une voie de financement depuis l'Italie, expliquée au chapitre 4.



Institut reConnect — Paris, juillet 2026

La visite de travail à l'Institut Pasteur a marqué le début formel de la collaboration avec l'équipe reConnect. Ce n'était pas la première réunion, mais c'était la première avec une caméra à nos côtés : la documentariste du projet Per la Bruna a accompagné l'équipe et a filmé ces heures de travail dans le cadre des archives documentaires de la fondation. Une journée qui, avec le recul, représente l'un des moments fondateurs de l'année.



Ce qui s'en vient

Trois données marqueront les prochains mois : la lecture à 18 mois du modèle porcin, qui dira si cette plateforme reste utile ; la validation des vecteurs de l'Institut reConnect sur rétine humaine ; et le début de l'étude confirmatoire de la NACA. Aucune des trois n'est un remède. Toutes trois orientent la suite de notre parcours.



**Actions, visibilité et
collecte de fonds**

Science et communauté : deux facettes d'un même combat

Faire avancer la recherche sur une maladie ultra-rare demande de l'argent. Et générer de l'argent demande de la visibilité. Et la visibilité réelle, celle qui touche les gens, demande une histoire vraie. La nôtre l'est. Et en 2025, nous avons appris à la raconter mieux que jamais.

4.1 Le documentaire Per la Bruna

Il y a des outils de communication. Et il y a des œuvres qui transcendent la communication et deviennent quelque chose de plus grand. Per la Bruna appartient à la seconde catégorie.

Réalisé par Carla Roda et produit par Tabata Films, le documentaire suit deux parcours en parallèle : l'histoire intime de notre famille, et la mobilisation scientifique qu'Arnau Espinosa et Berta Adell (fondateurs de SSNEU) mènent depuis Save Sight Now Europe. Il parle de Bruna, et il parle de chaque fille et de chaque garçon atteints de Usher 1B qui attendent que la science arrive à temps.

Carla Roda n'est pas une réalisatrice comme les autres. Sa carrière comprend des travaux pour Netflix (Karol G : Mañana Fue Muy Bonito), HBO Max (Menudo : Forever Young) et des productions présentées à Tribeca, SXSW et Sundance. Elle a reçu le Prix Orson Welles. Per la Bruna est son premier film en tant que réalisatrice, et elle a choisi cette histoire parce que, selon ses mots, c'est un voyage intime pour documenter la force d'une famille.

La caméra nous accompagne depuis un an et reste à nos côtés. Elle a filmé des réunions de laboratoire à Bâle, des congrès scientifiques à Denver, des moments familiaux en Catalogne et en Suisse, ainsi que la visite à l'Institut reConnect (Institut Pasteur) à Paris en juillet (le début formel du programme reConnect). Elle a vu ce qui ne se voit habituellement pas : les conversations à minuit avec les chercheurs, les doutes, les décisions difficiles, mais aussi la vie quotidienne d'une famille qui ne s'est jamais arrêtée. Le 26 mai 2026, au Cinema Edison de Granollers, nous avons organisé la première présentation publique du projet : la projection du sizzle reel, un échange avec la réalisatrice et une présentation de Berta Adell sur ce que capture le documentaire et pourquoi cette histoire doit être racontée maintenant.



PER LA BRUNA

A documentary about love, science, and hope in a race against time.

perlabruna.com

*Le projet est toujours en cours de production. Suivez-nous pour les prochaines actualités.
Visitez le site du documentaire : perlabruna.com*

4.2 Présence médiatique et sensibilisation

Les Bones Causes — Catalunya Ràdio

Au cours de la saison 2024-2025, six voix du paysage culturel, journalistique et sportif catalan ont fait entrer l'Usher 1B dans les foyers de Catalogne et de toute l'Espagne en prime time : Jordi Coll · Paula Malia · Mont Plans · Ariadna Oltra · Toni Cruanyes · Enric Agud.

Chaque intervention a généré une diffusion organique, de nouveaux contacts et, surtout, a normalisé le nom d'une maladie qui, jusqu'à récemment, était méconnue de la plupart des gens.



Jordi Coll, acteur



Paula Malia, actrice



Mont Plans, actrice



Ariadna Oltra,
journaliste



Toni Cruanyes,
journaliste



Enric Agud,
journaliste

Capsules de sensibilisation

Depuis La Nit de la Visió, en novembre 2025, nous avons commencé à publier des capsules de sensibilisation sur les réseaux sociaux, réalisées par Nuria Camp (Camp Divulgatiu). L'objectif est d'expliquer l'Usher 1B (la maladie, la science, les familles, la recherche) de manière claire, cohérente et facile à partager. Une voix régulière qui construit présence et connaissance dans la durée.

Vous pouvez cliquer sur chaque image pour en voir le contenu.



Présence médiatique

RAC1, Catalunya Ràdio, ara.cat, La Vanguardia, EFE, Canal 21, Tele 5, Pànxing, RTS, La Liberté, Le Gruyère et plus de trente médias espagnols, catalans et suisses ont relayé notre histoire et notre travail tout au long de l'année. Le podcast La Ciència de lo Singular (Share4Rare/CIBERER) a réuni Berta Adell aux côtés de la Dre Carmen Ayuso, du Dr José María Millán, du Dr Jaume Català et de David Sánchez.



Lulu & Nanette — Journée internationale du syndrome de Usher

En septembre, le réseau d'opticiens suisses Lulu & Nanette a consacré tout le mois à la sensibilisation au syndrome de Usher, avec une intensité particulière le samedi 20 septembre, Journée internationale de l'Usher. Une collaboration qui met notre cause en contact direct avec les professionnels de la vue et leurs patients.



86e Bol d'Or du Léman 2025 — Voilier Adrénaline

Le Bol d'Or du Léman est la plus grande régate en eaux fermées au monde : chaque année, plus de 500 bateaux et 3 500 régatiers quittent Genève, traversent le lac Léman jusqu'au Bouveret et reviennent. En 2025, le logo de Save Sight Now Europe a brillé sur la voile de l'Adrénaline, skipité par Thierry Campiche, et la collaboration se poursuit en 2026.

Mais elle va au-delà d'une seule course : tout au long de la saison, l'Adrénaline porte nos couleurs lors des différentes régates du lac Léman. Elle nous offre une visibilité dans l'un des environnements sportifs et sociaux les plus actifs de Suisse, sur l'eau devant des milliers de spectateurs et sur les réseaux sociaux, où les deux organisations partagent des publications.

Une collaboration simple et efficace qui place notre cause au cœur de la communauté suisse.



4.3 Collecte de fonds : le Mouvement USH et Usher Partners

Financer la recherche sur une maladie ultra-rare sans aides structurelles des États ni des organismes européens exige de la créativité, de la persévérance et une communauté véritablement impliquée. 2025 a confirmé que nous disposons des trois.



La Nit de la Visió 2025 — 3e édition

14 novembre · Recinte Modernista de Sant Pau, Barcelone.

La troisième édition de La Nit de la Visió a consolidé l'événement comme le rendez-vous annuel de la communauté SSNEU : dîner assis, ouverture musicale, concert en direct et le fil conducteur habituel — science, témoignages et solidarité sous un même toit. La nouveauté de l'année a été l'ajout d'une vente aux enchères solidaire en ligne via BiddingOwl, active pendant les semaines précédentes avec une clôture spéciale pendant la soirée, proposant des lots d'expériences, d'art, de bien-être, de gastronomie et d'objets sportifs de collection. Le montant total collecté s'est élevé à 37 700 €, intégralement destinés à la recherche.

La soirée a été rendue possible grâce à Original's Catering, la Fundació Hospital de la Santa Creu i Sant Pau (lieu de l'événement), Compañía Eléctrica Panamericana et Anima el Musical.



Sponsors Gold pour l'Innovation : Almenibor by StiviBags · Tectrol SA, Love for a Walk
Sponsors Silver et Bronze : Emerge 4 Life, Bon Preu SAU, Instituto Médico Privado ·
Atma obra · Pymej SL · Idun Nature.

La vente aux enchères solidaire en ligne a également bénéficié de la générosité de nombreuses entreprises et professionnels ayant proposé des lots d'expériences, d'art, de bien-être, de gastronomie et d'objets sportifs de collection : AIRE Ancient Baths, Fútbol Club Porto, FC Barcelona, Toulouse Football Club, Teatre Akadèmia, Cinema Maldà (75 anys), Sala Beckett – Obrador Internacional de Dramatúrgia, El Menjador de la Beckett, Oasis Wellness & Spa by Natura Bissé, Sport Hotel Hermitage & Spa, Koy Hermitage, Sol i Neu Club Hermitage, Grup Confiteria, Comics Barcelona, Bizarre Escape Room, MS Marly Saravia (coach), bijhein., Semproniana, Disfrutar Restaurant Barcelona, Castro Xatruch Casañas, Maite Soldevila, Abacus, Rebel Genetics, Can Mas Vila, Fundación PortAventura, Ibaya, Casa Güell, El Cellar de Can Roca (Girona), Emma Clarós, emiliacraft, TOUS, Kinefis – Terapia del Bienestar, Palabras Cómplices con Eva Lleonart, Vallesana – Vins, Caves, Licors, El Cellar d'en Medir, La Queixalada, La Bodegueta del Carrer Major, Cottet, Textura Profesionales, Little Creative Factory, Desarrolladoras de Talento, Sensas, Balah Jewellery, Wherteimar.

Soirée Solidaire La Tour Vagabonde — Fribourg, mars

Pour la deuxième année consécutive, la famille Meyer a organisé une soirée musicale et testimoniale à Fribourg, avec une table ronde scientifique et un concert de Melissa Kassab. Fonds récoltés : 27 000 CHF, un résultat extraordinaire qui reflète l'engagement croissant de la communauté suisse envers la cause.



Course solidaire du CO Sarine Ouest — Fribourg, juin

589 élèves de l'école CO Sarine Ouest ont couru pour la recherche sur l'Usher 1B. Motivés par l'histoire de la famille Meyer et de leur fils Félix (six ans, Usher 1B), ils ont récolté 14 430 CHF.



Des roses pour vaincre l'Usher — Sant Jordi 2025

Troisième édition de la campagne de la Sant Jordi aux Jardinets de Gràcia, à Barcelone. Roses et crayons solidaires, sensibilisation et collecte de fonds à l'occasion de l'une des fêtes les plus emblématiques de Catalogne.

Vous pouvez consulter nos événements passés et à venir sur le site de SSNEU, rubrique [événements](#).

Les fonds collectés en Espagne sont reçus par la Fundació Síndrome de Usher et ceux collectés en Suisse par l'Association Save Sight Now Europe Switzerland. Chaque entité présente ses comptes séparément dans les sections du chapitre 6 · Finances.

4.4 Usher Partners 2026 : structurer le financement pour grandir

2025 a été l'année où nous avons pris une décision importante : cesser d'improviser la collecte de fonds et la structurer. Le résultat est Usher Partners 2026 : un programme de parrainage annuel avec un objectif de 150 000 € pour soutenir la continuité des programmes de recherche actifs, le travail sur les données et biomarqueurs avec RetinAI, et la présence internationale de SSNEU dans les espaces scientifiques qui comptent.

Le programme offre aux entreprises et organisations la possibilité d'associer leur marque à une cause concrète, mesurable et urgente. Ce n'est pas de la philanthropie abstraite : c'est financer une science réelle, avec des noms de chercheurs, de laboratoires et des résultats explicables.

Le plan d'action 2026 comprend :

- Des roses pour vaincre l'Usher (avril · Sant Jordi)
- Marché solidaire Costa Brava (juin · Port de la Selva)
- Padel pour l'Usher (septembre · plusieurs clubs affiliés)
- La Nit de la Visió 2026 (novembre)



Giving Europe — Dons déductibles à l'échelle européenne.

Premier pays : l'Italie

Une nouveauté importante dans notre architecture de collecte : en 2025, SSNEU a œuvré pour rejoindre la plateforme Giving Europe, qui permet aux donateurs européens de faire des dons fiscalement déductibles à notre organisation.



Nous lançons cette option avec l'Italie, où la communauté locale continue de soutenir la recherche via Save Sight Now Europe, avec l'initiative No Limits et l'héritage de l'organisation Rare Partners, qui a porté cette collaboration pendant des années.

Grâce à ce mécanisme, nous avons déjà pu recevoir le soutien de la communauté italienne et financer une partie des besoins nécessaires pour faire avancer le programme UNI-RARE au centre du Dr Giacomo Calzetti à Brescia. Une étape petite en apparence, mais stratégiquement importante : l'Italie possède une communauté Usher active et généreuse, et ouvrir cette voie signifie pouvoir y croître de manière durable.

Vous trouverez tous les événements et les collaborateurs sur notre site web.

5

**Gouvernance et
transparence**

Une organisation qui grandit avec rigueur

Save Sight Now Europe opère à travers deux entités juridiques complémentaires : la Fundació Síndrome de Usher (NIF G-13876362), inscrite au registre des fondations de la Generalitat de Catalogne et basée à Barcelone, et l'Association Save Sight Now Europe Switzerland (CHE-080.124.875), basée à Genève.

Cette structure duale n'est pas une complexité administrative : c'est un outil. Elle nous permet d'opérer à la fois au sein de l'écosystème scientifique et philanthropique suisse (où se trouve une bonne partie de nos partenaires de recherche) et dans le cadre juridique et fiscal espagnol, où se trouve notre communauté.

En 2025, nous avons franchi une étape concrète pour élargir notre capacité à recevoir des dons en Europe, grâce à la plateforme Giving Europe. C'est un mouvement stratégique que nous entamons avec l'Italie, où nous disposons d'une communauté Usher active, de chercheurs engagés et d'une solide tradition de philanthropie liée à la santé.

5.1 Conseil d'administration de la Fundació Síndrome de Usher

Le Conseil d'administration est l'organe de gouvernance de la Fundació Síndrome de Usher (tel qu'établi par la réglementation des fondations de la Generalitat de Catalogne) : il approuve les comptes, fixe les lignes d'action et est responsable du respect des finalités fondationnelles. Ses membres exercent leur fonction bénévolement.

Le Conseil d'administration supervise le respect des finalités fondationnelles, approuve les comptes annuels et veille à la bonne gestion des ressources de l'entité.

En 2025, il était composé de :

- Berta Adell Palau — Cofondatrice et Présidente
- Arnau Espinosa Manzanal — Cofondateur et Secrétaire
- Júlia Espinosa Manzanal — Cofondatrice et Vice-présidente
- Hermès Solé — Cofondateur et Membre

Le Conseil d'administration s'est réuni trois fois au cours de l'exercice 2025.

5.2 Comité de direction de l'Association Save Sight Now Europe Switzerland

Le Comité de direction est l'organe exécutif de l'Association Save Sight Now Europe Switzerland. Son mandat a été renouvelé lors de l'Assemblée générale du 29 septembre 2025. En 2025, il était composé de : Berta Adell Palau — Présidente (réélue), Arnau Espinosa Manzanal — Secrétaire, Júlia Espinosa Manzanal — Vice-présidente

5.3 Assemblée générale – Association SSNE Switzerland

L'Assemblée générale du siège suisse s'est tenue le 6 octobre 2025. Les principaux points approuvés ont été :

- Comptes annuels de l'exercice 2024–2025 et affectation des recettes aux activités fondationnelles.
- Renouvellement du comité de direction.
- Mise à jour de la stratégie de collaborations scientifiques et de collecte de fonds pour 2025–2026
- Réaffirmation de l'engagement en matière de transparence et de reddition de comptes comme axe central de la gouvernance.

5.4 Comité scientifique consultatif (SAB) : comment nous décidons de l'orientation des fonds

Nous sommes une petite fondation qui finance une science coûteuse dans un domaine où se tromper coûte des années. Le SAB existe pour garantir qu'aucune décision d'investissement ne dépende uniquement de notre propre jugement. Il est composé de scientifiques externes aux compétences complémentaires — thérapie génique, ophtalmologie pédiatrique, génétique des maladies rares et conception d'essais — sans intérêt financier dans les programmes qu'ils évaluent.

Lorsqu'une proposition arrive, l'équipe prépare un dossier et le SAB évalue quelque chose de précis : si elle répond à une question que personne d'autre ne traite, et si le résultat, quel qu'il soit, nous conduira à prendre une décision différente. Aucun programme ne reçoit d'engagement ouvert : le financement se fait par étapes, avec une donnée précise comme condition pour continuer. Cela signifie parfois arrêter une ligne de recherche jusqu'à ce qu'une lecture en attente arrive. Le dire est aussi important qu'annoncer ce que nous avons effectivement financé.

Dr. Bence György

Institut d'ophtalmologie moléculaire et clinique de Bâle (IOB) · Université de Bâle

Médecin et chercheur formé à Budapest, avec un postdoctorat à Harvard, il est responsable de la translation clinique à l'IOB et professeur à l'Université de Bâle. Son groupe travaille sur l'édition génétique de précision appliquée à la rétine : des technologies qui permettent de corriger une seule lettre du génome sans couper l'ADN double brin, avec une sécurité et une spécificité que les outils précédents n'avaient pas.



En 2025, son laboratoire a publié des résultats chez des primates avec des taux de correction allant jusqu'à 87 % dans les cellules de l'épithélium pigmentaire rétinien et 61 % dans les bâtonnets, en utilisant des vecteurs AAV de troisième génération. Il s'agissait d'une autre maladie héréditaire, mais la technologie est la même que celle qui pourrait s'appliquer à des mutations ponctuelles du gène MYO7A, avec une limite qu'il souligne lui-même : elle n'est utile que pour les patients dont la mutation peut être corrigée par cet outil précis.

Son laboratoire, en collaboration avec le Dr Arnold Szabo (Université Semmelweis), maintient de la rétine humaine donnée vivante pendant des semaines pour y tester des traitements — c'est là que seront validés les vecteurs du programme reConnect.

Il apporte au SAB la perspective de quelqu'un qui comprend toute la chaîne, de la conception moléculaire à la question de savoir comment un traitement arrive en clinique. C'est lui qui nous aide à évaluer si une proposition d'édition génétique repose sur des bases réelles ou si elle est prometteuse sur le papier mais loin d'être démontrable chez l'humain.

Dr. Giacomo Calzetti

Institut d'ophtalmologie moléculaire et clinique de Bâle (IOB) · Vista Vision, Brescia

Ophtalmologue et chercheur à l'IOB, investigateur principal à la clinique Vista Vision de Brescia, formé à Parme et au Scheie Eye Institute de l'Université de Pennsylvanie. Il travaille sur des technologies qui corrigent le gène plutôt que de le remplacer : en 2025, il a publié dans Nature Medicine des résultats chez des primates avec un taux de correction de 87 % des cellules de l'épithélium pigmentaire.



En tant qu'investigateur principal à Vista Vision, il conjugue le travail de laboratoire avec une consultation clinique hebdomadaire, ce qui lui permet de confronter chaque proposition scientifique à ce qu'il observe directement chez ses patients. C'est également lui qui dirige le programme UNI-RARE à Brescia — en partie financé grâce à la plateforme Giving Europe — et qui a été à l'origine, en janvier 2026, de la rencontre de Milan avec Alessandro Mennella, Marco Tironi et l'équipe de BeRare Onlus, point de départ de notre collaboration italienne.

Il apporte au SAB ce qui se voit le moins et manque le plus : savoir comment mesurer une maladie lente d'une manière acceptée par les agences du médicament. Il est aussi notre principal lien avec la communauté Usher italienne.

Dr. Jaume Català-Mora

Hôpital Sant Joan de Déu · Institut de recherche Sant Joan de Déu, Barcelone

Ophtalmologue pédiatrique et chirurgien de la rétine à l'Hôpital Sant Joan de Déu, il dispose de l'une des plus grandes séries pédiatriques de Usher 1B en Europe. En 2024, il a publié le suivi de 26 enfants porteurs de mutations MYO7A sur plus de trois ans et demi : il a identifié les premières altérations rétinienne infantiles, quantifié leur vitesse de progression et démontré que l'accumulation de liquide dans la macula prédit une vision plus

mauvaise des années plus tard. Il dirige également un projet d'IA pour analyser les couches de la rétine dans l'Usher de type 1. Presque toutes les données d'évolution de la maladie proviennent d'adultes ; il apporte les connaissances pédiatriques dont les traitements que nous finançons auront besoin. Et il se trouve à vingt minutes de chez nous.



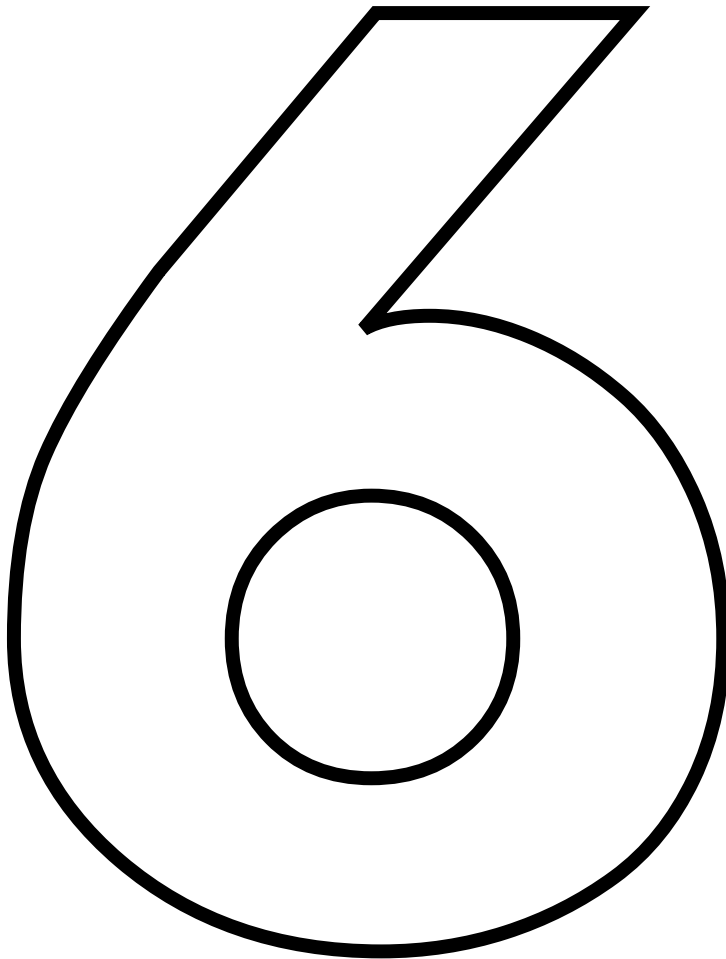
Dr. José María Millán

CIBERER · Institut de recherche sanitaire La Fe, Valence

Il dirige le Groupe de biomédecine moléculaire, cellulaire et génomique de l'IIS La Fe et, depuis juin 2025, la direction scientifique du CIBERER, le réseau national de recherche sur les maladies rares. Son groupe travaille sur la génétique du syndrome de Usher depuis 1995 et constitue la référence nationale pour le diagnostic génétique de la maladie.



Sa contribution au SAB soutient toutes les autres : savoir interpréter les variants. Lorsqu'une famille reçoit un rapport avec un « variant de signification incertaine », ce rapport ne clôt rien, ni le diagnostic, ni l'accès à un futur essai clinique. Déterminer si un variant précis est à l'origine de la maladie est un travail spécialisé et lent. Il sait le faire.



**Les
finances**

Save Sight Now Europe opère à travers deux entités juridiques complémentaires : Fundació síndrome de Usher et Association Save Sight Now Europe Switzerland

Ce chapitre présente séparément les comptes de chacune : la Fundació Síndrome de Usher (section 6.1) et l'Association Save Sight Now Europe Switzerland (section 6.2).

Tous les documents officiels sont disponibles dans la rubrique Transparence du site www.savesightnoweurope.org.



6.1 Fundació Síndrome de Usher (Espagne)

Pour l'année 2025, la Fondation remet les documents suivants pour rendre compte de ses comptes, de son exercice et de son activité :

- **Rapport annuel d'activités 2025** (document actuel)
- **Comptes annuels. Exercice 2025**
- **Rapport économique de l'exercice 2025** (aux fins de l'article 3.10 de la loi 49/2002 du 23 décembre, relative au régime fiscal des entités à but non lucratif et aux incitations fiscales au mécénat)

La Fundació Síndrome de Usher (NIF : G-13876362) est inscrite au registre des fondations de la Generalitat de Catalogne, c'est pourquoi les rapports annuels d'exercice et les comptes officiels sont rédigés en catalan.

Sont présentés ci-dessous les comptes de l'exercice 2025, qui reflètent l'activité économique de la Fundació Síndrome de Usher (NIF G-13876362) et l'affectation des fonds reçus. Les comptes de l'Association Save Sight Now Europe Switzerland sont présentés à la section 6.2.

Vous trouverez tous les documents dans la section « **Transparence** » du site www.savesightnoweurope.org.

Bilan

Fundació Síndrome de Usher, du 01/01/2025 au
ACTIF 31/12/2025

<u>ACTIU</u>	<u>Nota</u>	<u>2025</u>	<u>2024</u>
A) ACTIU NO CORRENT		0,00	0,00
I. Immobilitzat intangible		0,00	0,00
II. Immobilitzat material		0,00	0,00
III. Inversions immobiliàries		0,00	0,00
IV. Béns del patrimoni cultural		0,00	0,00
V. Inversions en entitats del grup i associades a llarg termini		0,00	0,00
VI. Inversions financeres a llarg termini		0,00	0,00
VII. Actius per impost diferit		0,00	0,00
B) ACTIU CORRENT		192.287,52	142.431,56
I. Existències		0,00	0,00
II. Usuaris, patrocinadors i deutors de les activitats i altres comptes a cobrar		0,00	0,00
III. Inversions en entitats del grup i associades a curt termini		0,00	0,00
IV. Inversions financeres a curt termini		0,00	0,00
V. Periodificacions a curt termini		0,00	0,00
VI. Efectiu i altres actius líquids equivalents		192.287,52	142.431,56
1. Tresoreria		192.287,52	142.431,56
2. Altres actius líquids equivalents		0,00	0,00
TOTAL ACTIU (A + B)		192.287,52	142.431,56

<u>PATRIMONI NET i PASSIU</u>	<u>Nota</u>	<u>2025</u>	<u>2024</u>
A) PATRIMONI NET		191.387,69	142.359,94
A-1) Fons propis		191.387,69	142.359,94
I. Fons dotacionals o fons socials		22.700,00	15.400,00
1. Fons dotacionals o fons socials		30.000,00	30.000,00
2. Fons dotacionals o fons socials pendents de desemborsar		-7.300,00	-14.600,00
II. Fons especials		0,00	0,00
III. Excedents d'exercicis anteriors		126.959,94	34.057,00
IV. Excedents pendents d'aplicació en activitats estatutàries		0,00	0,00
V. Excedent de l'exercici (positiu o negatiu)		41.727,75	92.902,94
VI. Aportacions per a compensar pèrdues		0,00	0,00
A-2) Subvencions, donacions i llegats rebuts i altres ajustaments		0,00	0,00
B) PASSIU NO CORRENT		0,00	0,00
I. Provisions a llarg termini		0,00	0,00
II. Deutes a llarg termini		0,00	0,00
III. Deutes amb entitats del grup i associades a llarg termini		0,00	0,00
IV. Passius per impost diferit		0,00	0,00
V. Periodificacions a llarg termini		0,00	0,00
C) PASSIU CORRENT		899,83	71,62
I. Provisions a curt termini		0,00	0,00
II. Deutes a curt termini		848,83	0,00
III. Deutes amb entitats del grup i associades a curt termini		0,00	0,00
IV. Creditors per activitats i altres comptes a pagar		51,00	71,62
1. Proveïdors		0,00	71,62
2. Creditors varis		0,00	0,00
3. Personal (remuneracions pendents de ..		0,00	0,00
4. Passius per impost corrent i altres deutes amb les Admin. Públiques		51,00	0,00

5. Acomptes d'usuaris	0,00	0,00
V. Periodificacions a curt termini	0,00	0,00
TOTAL PATRIMONI NET I PASSIU (A + B + C)	192.287,52	142.431,56

Compte de resultat

Fundació Síndrome de Usher, du 01/01/2025 au
31/12/2025

	Nota	2025	2024
1. Ingressos per les activitats		0,00	0,00
e) Donacions i altres ingressos per a activitats		0,00	0,00
2. Ajuts concedits i altres despeses		0,00	0,00
3. Variació d'existències de productes acabats i en curs de fabricació		0,00	0,00
4. Treballs realitzats per l'entitat per al seu actiu		0,00	0,00
5. Aprovisionaments		-21.805,93	-16.324,56
a) Consums i deteriorament d'existències		-1.141,97	-11,98
b) Treballs realitzats per altres activitats		-20.663,96	-16.312,58
6. Altres ingressos de les activitats		66.250,10	116.556,89
7. Despeses de personal		0,00	0,00
8. Altres despeses d'explotació		-2.716,42	-7.329,39
a) Serveis exteriors		-2.716,42	-7.249,24
a4) Serveis professionals independents		0,00	0,00
a7) Serveis bancaris		0,00	-206,04
a10) Altres serveis		-2.716,42	-7.043,20
b) Tributs		0,00	-80,15
9. Amortització de l'immobilitzat		0,00	0,00
10. Subvencions, donacions i llegats traspassats al resultat		0,00	0,00
11. Excés de provisions		0,00	0,00
12. Deteriorament i resultat per alienacions d'immobilitzat		0,00	0,00
13. Altres resultats		0,00	0,00
I) RESULTAT D'EXPLOTACIÓ (1 + 2 + 3 + 4 + 5 + 6 + 7 + 8 + 9 + 10 + 11 + 12 + 13)		41.727,75	92.902,94

14. Ingressos financers	0,00	0,00
15. Despeses financeres	0,00	0,00
16. Variació de valor raonable en instruments financers	0,00	0,00
17. Diferències de canvi	0,00	0,00
18. Deteriorament i resultat per alienacions d'instruments financers	0,00	0,00
II) RESULTAT FINANCER (14 + 15 + 16 + 17 + 18)	0,00	0,00
III) RESULTAT ABANS DE IMPOSTOS (I + II)	41.727,75	92.902,94
19. Impostos sobre beneficis	0,00	0,00
IV) RESULTAT DE L'EXERCICI (III + 19)	41.727,75	92.902,94

Affectation des recettes aux activités fondationnelles

L'article 3.1.c du décret royal 1270/2003 du 10 octobre définit les exigences du rapport concernant les recettes des activités fondationnelles : précision et mode de calcul des recettes et revenus visés à l'article 3.2 de la loi 49/2002, ainsi que description de leur destination ou affectation.

Au cours de l'exercice 2025, la Fondation a affecté 34,32 % des revenus nets obtenus à l'accomplissement de ses finalités fondationnelles, selon le détail suivant

DESTÍ DE LES RENDES A LES ACTIVITATS FUNDACIONALS

A) Ingressos meritats de l'exercici:	66.250,10
INGRESSOS PER ACTIVITATS	0,00
VARIACIÓ D'EXISTÈNCIES DE PRODUCTES ACABATS	0,00
TREBALLS DE L'ENTITAT PEL SEU ACTIU	0,00
ALTRES INGRESSOS D'ACTIVITATS	66.250,10
SUBVENCIONS DONACIONS TRASP. A RESULTATS	0,00
EXCÉS DE PROVISIONS	0,00
ALTRES RESULTATS	0,00
INGRESSOS FINANCERS	0,00
VARIACIÓ VALOR RAONABLE D'INSTRUMENTS	0,00
Ajustos:	0,00
(-) Resultat positiu alienació béns reinvertits	0,00
(-) Subvencions i donacions no reintegrables traspassats a resultats	0,00
(+) Canvis criteris comptables	0,00
INGRESSOS AJUSTATS	66.250,10
B) Despeses necessàries:	2.716,42
PROVEÏMENTS	0,00
DESPESES DE PERSONAL	0,00
ALTRES DESPESES D'EXPLOTACIÓ	2.716,42
DOTACIONS PER AMORTITZACIÓ I PROVISIONS	0,00
ALTRES RESULTATS	0,00
DESPESES FINANCERES	0,00
Ajustos:	0,00
(-) Dotació Amortització Element Fundacional (criteri Recursos Propis)	0,00
(-) Despeses derivades de Subvencions i donacions no reintegrables ajustades com ingres	0,00
(+) Recursos propis destinats a Elements Fundacionals (Criteri Recursos Propis)	0,00
(+) Canvis criteris comptables	0,00
DESPESES AJUSTADES	2.716,42

C) Ingressos nets de l'entitat:	63.533,68
D) Import mínim d'aplicació obligatòria (70% de C):	44.473,58
E) Import destinat a finalitats fundacionals:	21.805,93
AJUTS CONCEDITS	0,00
PROVEÏMENTS	21.805,93
DESPESES DE PERSONAL	0,00
ALTRES DESPESES D'EXPLOTACIÓ	0,00
DOTACIONS PER AMORTITZACIÓ I PROVISIONS	0,00
ALTRES RESULTATS	0,00
DESPESES FINANCERES	0,00
INVERSIONS EN ACTIVITATS FUNDACIONALS	0,00
PERCENTATGE DE RENDES DESTINADES	34,32%
COMPLIMENT DEL REQUISIT / PENDENT D'APLICACIÓ	22.667,65

Conformément à l'article 3.2 de la loi 49/2002, la Fondation dispose des quatre exercices suivants pour affecter ce montant à ses finalités fondationnelles, délai pendant lequel elle prévoit de l'appliquer intégralement aux programmes de recherche en cours.

De même, l'affectation des revenus aux activités fondamentales s'est établie comme suit :

Exercici	Total d'ingressos (A)	Despeses necessàries (B)	Mínim d'aplicació [70% (A-B)]	2.023	2.024	2.025	2.026	2.027	Pendent de destinar
2.023	41.849,32	1.689,82	28.111,65	6.102,50	16.324,56	5.684,59			0,00
2.024	116.556,89	7.329,39	76.459,25		0,00	16.121,34			60.337,91
2.025	66.250,10	2.716,42	44.473,58			0,00			44.473,58
2.026	0,00	0,00	0,00				0,00		0,00
2.027	0,00	0,00	0,00					0,00	0,00
Total de recursos destinats en l'exercici				6.102,50	16.324,56	21.805,93	0,00	0,00	104.811,49

Au cours de l'exercice 2025, la Fondation n'a pas affecté plus de 70 % de ses revenus aux finalités fondationnelles, laissant un montant de 22 667,65 euros en attente d'affectation pour les prochains exercices. Ce montant en attente sera affecté dans le délai légal de quatre ans.

Critères de répartition des charges et des investissements par activité

Détail des revenus par activité et projet. Revenus exonérés et non exonérés

DETALL DE LES RENDES	Article exempció	Saldo a 31/12/2025	RENDES EXEMPTES		RENDES NO EXEMPTES
			Activitat sanitària	Ingressos Patrimonials	
			Art.7.2	Art. 6 (1/2/3)	
1. INGRESSOS PER ACTIVITATS		0,00	0,00	0,00	0,00
Vendes	Art. 6.4	0,00	0,00	0,00	0,00
Prestacions de serveis	Art. 6.4	0,00	0,00	0,00	0,00
Promocions, patrocinadors i col·laboracions	Art. 6.4	0,00	0,00	0,00	0,00
Subvencions oficials a l'activitat	Art. 6.4	0,00	0,00	0,00	0,00
Altres subvencions, donacions i llegats	Art. 6.1	0,00	0,00	0,00	0,00
3. VARIACIÓ D'EXISTÈNCIES DE PRODUCT. ACABAT	Art. 6.4	0,00	0,00	0,00	0,00
4. TREBALLS DE L'ENTITAT PEL SEU ACTIU	Art. 6.2	0,00	0,00	0,00	0,00
6. ALTRES INGRESSOS D'ACTIVITATS		66.250,10	66.250,10	0,00	0,00
Arrendaments	Art. 6.2	0,00	0,00	0,00	0,00
Ingressos accessoris i altres de gestió corrent	Art. 6.4	66.250,10	66.250,10	0,00	0,00
10. SUBVENCIONS DONACIONS TRASP. A RESULTATS	Art. 6.1	0,00	0,00	0,00	0,00
11. EXCÉS DE PROVISIONS	Art. 6.4	0,00	0,00	0,00	0,00
13. ALTRES RESULTATS	Art. 6.4	0,00	0,00	0,00	0,00
14. INGRESSOS FINANCERS	Art. 6.2	0,00	0,00	0,00	0,00
16. VARIACIÓ VALOR RAONABLE D'INSTRUMENTS	Art. 6.2	0,00	0,00	0,00	0,00
TOTAL INGRESSOS		66.250,10	66.250,10	0,00	0,00
2. AJUTS CONCEDITS		0,00	0,00	0,00	0,00
5. PROVEÏMENTS		21.805,93	21.805,93	0,00	0,00
7. DESPESES DE PERSONAL		0,00	0,00	0,00	0,00
8. ALTRES DESPESES D'EXPLOTACIÓ		2.716,42	2.716,42	0,00	0,00
9. DOTACIONS PER AMORT I PROVISIONS		0,00	0,00	0,00	0,00
13. ALTRES RESULTATS		0,00	0,00	0,00	0,00
15. DESPESES FINANCERES		0,00	0,00	0,00	0,00
TOTAL DESPESES		24.522,35	24.522,35	0,00	0,00
RENDES DE L'EXERCICI		41.727,75	41.727,75	0,00	0,00

6.2 Association Save Sight Now Europe Switzerland

L'Association Save Sight Now Europe Switzerland (CHE-080.124.875), basée à Genève, présente ci-dessous ses comptes pour l'exercice 2025. Ces comptes correspondent uniquement à l'Association ; les comptes de la Fundació Síndrome de Usher sont présentés à la section 6.1. Ils seront présentés et soumis à approbation lors de la prochaine Assemblée générale, en septembre 2026.

- Memoria anual de actividades 2025 (documento actual)
- Cuentas anuales. Ejercicio 2025 (en CHF)

Les comptes de l'Association Save Sight Now Europe Switzerland sont présentés dans ses langues officielles, le français (siège en Suisse romande) et l'anglais (conformément aux statuts). Les montants sont exprimés en francs suisses (CHF).

Vous trouverez tous les documents dans la section « Transparence » du site www.savesightnoweurope.org.

Bilan

Association Save Sight Now Europe Switzerland, du 01/01/2025 au 31/12/2025 (en CHF)

ACTIFS

Actif			Précédent
1	Actifs	126'727.13	102'359.05
10	Actifs circulants	126'727.13	102'359.05
100	Trésorerie	126'727.13	102'359.05
1020	Compte courant UBS IBAN CH21 002	126'727.13	102'359.05
		126'727.13	102'359.05

PASSIFS

Passif			Précédent
2	Passifs	126'727.13	102'359.05
28	Capital de l'organisation	126'727.13	102'359.05
297	Bénéfice ou perte reporté	126'727.13	102'359.05
2970	Bénéfice ou perte reporté	102'359.05	88'557.22
2979	Bénéfice ou perte de l'exercice	24'368.08	13'801.83
		126'727.13	102'359.05

Pertes et Profits

Association Save Sight Now Europe Switzerland, du 01/01/2025 au 31/12/2025 (en CHF)

Pertes et Profits

Charges			Précédent
4	Charges directes d'exploitation	25'163.01	
420	Charges publicitaires	3'666.90	
4290	Autres charges directes de publicité	3'666.90	
440	Charges des projets	21'496.11	
4405	Charges de prestations de tiers	21'496.11	
6	Autres charges d'exploitation, amortisse	675.31	87.19
65	Charges d'administration et d'informat	208.65	
6520	Cotisations, dons, cadeaux et pourboire	208.65	
66	Charges de publicité	363.54	
6610	Imprimés publicitaires, matériel de publi	363.54	
69	Charges et produits financiers	103.12	87.19
6940	Autres charges financières (frais banca	103.12	87.19
	Différence (bénéfice)	24'368.08	
	Différence précédente (bénéfice)		13'801.83
		50'206.40	13'889.02

Produits			Précédent
3	Produits nets des ventes de biens et de	50'206.40	13'889.02
301	Dons	50'206.40	13'889.02
3010	Produits de donateurs	50'206.40	13'889.02

Compte de résultat

Association Save Sight Now Europe Switzerland, du 01/01/2025 au 31/12/2025 (en CHF)

Concepto	2025	2024
Produits nets des ventes de biens et de prestations de services (dons)	50.206	13.889
Charges directes des projets	-25.163	0
Résultat brut après charges directes	25.043	13.889
Charges de personnel	0	0
Autres charges administratives	-572	0
Résultat d'exploitation avant amortissements, résultat financier et impôts (EBITDA)	24.471	13.889
Amortissements et corrections de valeur des immobilisations	0	0
Résultat d'exploitation avant résultat financier et impôts (EBIT)	24.471	13.889
Charges financières	-103	-87
Produits financiers	0	0
Résultat d'exploitation avant impôts (EBT)	24.368	13.802
Résultat des activités annexes d'exploitation	0	0
Charges et produits exceptionnels, uniques ou hors période	0	0
Résultat annuel avant impôts	24.368	13.802
Impôts directs	0	0
RÉSULTAT ANNUEL SANS RÉSULTAT DES FONDS	24.368	13.802



Remerciements

Travailler pour accélérer un traitement contre une maladie ultra-rare n'est pas un chemin facile. Aucun financement structurel ne le soutient. Aucun système ne le pousse naturellement.

Chaque avancée, chaque programme de recherche formalisé, chaque événement organisé, chaque accord signé est le résultat d'un effort soutenu, construit à partir de rien, avec des ressources limitées et une urgence qui ne permet aucune pause.

C'est pourquoi les remerciements qui clôturent ce rapport ne sont pas une simple courtoisie. Ils sont la reconnaissance que rien de ce que nous avons accompli en 2025 n'aurait été possible sans les personnes et les organisations qui ont choisi de marcher à nos côtés : les chercheurs qui ont fait confiance à une fondation jeune et rigoureuse, les familles qui ont transformé leur douleur en action, les entreprises qui ont vu dans cette cause un pari qui en vaut la peine, et les alliés et amis qui ont donné leur temps, la seule ressource que personne ne peut récupérer. À vous tous, merci.

Au Dr Aziz El Amraoui et à la Dre Sandrine Vitry de l'Institut reConnect (Institut Pasteur) de Paris pour avoir ouvert les portes du programme reConnect et pour la confiance accordée à une collaboration qui vient tout juste de commencer et qui a tout le potentiel du monde.

Au Dr Bence György de l'IOB Bâle pour son engagement dans l'édition de précision appliquée à la rétine et pour avoir maintenu ouverte une collaboration qui ne cesse de croître.

À la Dre Isabelle Audo et à toute l'équipe de l'Institut de la Vision de Paris pour des années de travail commun et pour nous avoir accompagnés avec rigueur et générosité à chaque étape du chemin.

À Carlos Ciller et Catia Fortunato de RetinAI pour nous avoir facilité le chemin grâce à leurs outils et leurs connaissances, et pour l'avoir fait avec une implication et une proximité qui vont bien au-delà de ce qu'exigerait un accord professionnel.

Au Dr Giacomo Calzetti de Brescia pour avoir ouvert la porte du programme UNI-RARE en Italie et pour une collaboration qui démarre avec force.

Au Prof. Elvir Becirovic et à son équipe de l'Université de Zurich, ainsi qu'à la Dre Zdenka Ellederová de l'IAPG en République tchèque. Au Dr Uwe Wolfrum et à la Dre Kerstin Wolfrum de la Johannes Gutenberg University Mainz. Au Dr Jaume Català de l'Hôpital Sant Joan de Déu de Barcelone et au Dr José María Millán de l'Hôpital La Fe / CIBERER de Valence, pour maintenir en vie la plateforme préclinique dont le domaine a besoin pour valider ce qui vient. Pour être les référents cliniques qui relient la recherche aux patients et aux familles chez nous.

Collaborateurs stratégiques

À RetinAI : pour l'accord qui met l'intelligence artificielle au service de l'Usher 1B et pour croire que des données bien gérées peuvent accélérer le chemin vers les patients.

À Alessandro Mennella et Marco Tironi et leurs familles, à Germano Carganico et Marcella Zacariello : Usher 1B Italy / BeRare Onlus : pour la générosité de leur travail au fil des années, pour la cession de l'OPTOS Daytona, pour l'énergie qu'ils apportent à la collaboration italienne et pour démontrer que les personnes concernées peuvent être des moteurs de changement.

À Carla Roda et Tabata Films : pour avoir choisi notre histoire pour son premier film en tant que réalisatrice, pour la sensibilité avec laquelle elle suit notre famille depuis plus d'un an, et pour croire que Per la Bruna peut changer le regard du monde sur les maladies ultra-rares.

À Nuria Camp / Camp Divulgatiu : pour nous avoir aidés à construire une voix cohérente et claire pour l'Usher 1B lors de La Nit de la Visió et sur les réseaux sociaux.

À Lulu & Nanette (Suisse) : pour avoir consacré la Journée internationale du syndrome de Usher à notre cause et pour l'avoir portée jusqu'à leurs patients et professionnels.

À Thierry Campiche et à l'équipage du voilier Adrénaline : pour avoir porté le logo de SSNEU sur la voile lors des régates du lac Léman et pour avoir fait de notre cause une présence visible sur les eaux de Genève.

À Dani Pich et Giorgio Maridan de Yes We Sail : pour être toujours à nos côtés, en partageant une vision et un chemin communs.

À Nathalie Baur-Schelbert : pour tenir la comptabilité de l'Association année après année à titre bénévole, avec une rigueur qui rend possible tout ce que raconte ce chapitre.

La communauté qui rend les événements possibles

Derrière chaque événement se trouvent des personnes qui ont décidé que notre cause était aussi la leur. Des familles concernées, des amis, des groupes de bénévoles qui n'ont pas attendu et ont transformé leur réalité en action : en organisant des dîners, des courses, des marchés, des tournois et des soirées qui collectent des fonds et donnent de la visibilité à l'Usher 1B là où ils vivent. Des amis qui mobilisent leur entourage, créent des événements de toutes pièces, appellent, convainquent et poussent parce qu'ils savent que chaque euro collecté est de la science qui avance.

À toutes ces personnes, notre reconnaissance la plus sincère. Sans vous, les programmes de recherche que nous finançons ne seraient pas possibles. Vous faites partie intégrante de ce que nous sommes.

Les voix qui ont amplifié la nôtre

À Jordi Coll, Paula Malia, Mont Plans, Ariadna Oltra, Toni Cruanyes et Enric Agud : pour avoir fait entrer l'Usher 1B dans les foyers catalans en prime time à travers « Les Bones Causes » de Catalunya Ràdio, et pour l'avoir fait avec la générosité de ceux qui comprennent que donner une voix à une cause est aussi une forme d'urgence.

Et un remerciement particulier à Elisenda Pineda, qui n'a pas seulement amplifié notre voix mais a été physiquement présente à nos côtés : elle a animé la 3e édition de La Nit de la Visió 2025 avec une éloquence et une chaleur qui ont rendu cette soirée inoubliable.

Les sponsors qui rendent la recherche possible

À Almenibor et Tectrol SA, sponsors Gold de La Nit de la Visió 2025 : pour leur fidélité et pour avoir cru année après année en ce que nous faisons. À Instituto Médico Privado, Atma obra et Pymej SL (sponsors Silver et Bronze) : pour avoir rejoint notre grande cause.

À toutes les entreprises et particuliers : pour avoir misé sur un financement durable qui permet de planifier plutôt que d'improviser.

La communauté Usher à travers le monde et les familles

Notre reconnaissance la plus profonde va aux équipes de recherche qui nous ont permis d'être là où nous sommes aujourd'hui, aux familles concernées et à la communauté Usher qui travaille, ouvre la voie et fait confiance à SSNEU. Celles qui parcourent ce chemin depuis des années et celles qui viennent d'arriver. Celles qui nous ont appris, par leur expérience et leur lumière, ce que signifie vivre avec l'Usher 1B, et celles qui œuvrent pour trouver une solution.

Cette année, nous avons formalisé des accords, construit des alliances, travaillé sur un documentaire et continué à faire avancer la science vers les patients. Rien de tout cela n'aurait été possible sans vous.

Merci de faire partie de ce voyage.



ARNAU ESPINOSA ET BERTA ADELL
COFONDATEURS DE SAVE SIGHT NOW EUROP