

Sensorion reçoit la désignation de médicament orphelin de la Food and Drug Administration américaine pour OTOF-GT, pour le traitement de la perte auditive liée au gène de l'otoferline

- Cette désignation fait suite à la récente attribution par la FDA de la désignation de maladie pédiatrique rare à Sensorion pour le programme OTOF-GT
- Sensorion est en bonne voie pour déposer une demande d'autorisation d'essai clinique pour OTOF-GT au S1 2023

Montpellier, 30 novembre 2022 – Sensorion (FR0012596468 – ALSEN), société biotechnologique pionnière au stade clinique dédiée au développement de thérapies innovantes pour restaurer, traiter et prévenir les pertes d'audition, annonce que la Food and Drug Administration (FDA) américaine a accordé la désignation médicament orphelin (ODD) au programme le plus avancé de thérapie génique de la Société, OTOF-GT, une thérapie génique pour le traitement de la perte auditive liée au gène de l'otoferline. Sensorion est en bonne voie pour déposer une demande d'autorisation d'essai clinique pour OTOF-GT au cours de la première moitié de 2023.

Le programme de développement du produit de thérapie génique de vecteur dual AAV de Sensorion, OTOF-GT, vise à restaurer l'audition de patients atteints de déficience en otoferline. Les patients présentant des mutations liées à un déficit en otoferline souffrent d'une perte d'audition neurosensorielle prélinguale non syndromique sévère à profonde. La déficience en otoferline pourrait être responsable de près de 8% de tous les cas de déficience auditive congénitale et environ 20 000 personnes sont concernées aux Etats-Unis et en Europe¹.

Sensorion continue de progresser dans ses plans de développement préclinique et clinique pour OTOF-GT et est en bonne voie pour déposer une demande d'autorisation d'essai clinique au premier semestre 2023. En septembre 2022, la Société a reçu l'avis favorable de l'Agence Européenne des Médicaments (EMA) pour une demande de désignation de médicament orphelin (ODD). La décision a été adoptée par la Commission Européenne le 11 octobre 2022. Sensorion s'est également vu attribuer, le 7 novembre 2022, la désignation de maladie pédiatrique rare pour OTOF-GT par la FDA américaine.

« Nous sommes vraiment heureux d'avoir reçu cet avis réglementaire important de la part de la FDA, qui fait suite à l'obtention récente de la désignation de maladie rare pédiatrique pour OTOF-GT. La désignation du médicament orphelin soutiendra l'avancement de ce programme de développement de thérapie génique qui a le potentiel d'aider les patients atteints d'une maladie pour laquelle il n'existe actuellement aucun traitement curatif approuvé », a déclaré **Géraldine Honnet, Directrice Médicale de Sensorion**. « Nous sommes très satisfaits d'avoir franchi cette étape-clé et demeurons hautement concentrés sur le développement des candidats les plus prometteurs afin de mettre au point des thérapies qui ont la capacité de changer la vie des patients en restaurant, traitant et prévenant les troubles de la perte auditive ».

La FDA accorde la désignation de médicament orphelin afin d'encourager le développement de thérapies pour traiter, diagnostiquer ou prévenir des maladies dites rares affectant moins de 200 000 personnes aux Etats-Unis. Ce statut permet à Sensorion de bénéficier de plusieurs avantages, dont notamment une période d'exclusivité de commercialisation de sept ans suite à l'autorisation de mise sur le marché, des conseils dans le développement, des crédits d'impôts pour les dépenses liées aux essais cliniques et l'exonération de certains frais de la FDA.

¹ Rodríguez-Ballesteros M, Reynoso R, Olarte M, Villamar M, Morera C, Santarelli R, Arslan E, Medá C, Curet C, Völter C, Sainz-Quevedo M, Castorina P, Ambrosetti U, Berrettini S, Frei K, Tedín S, Smith J, Cruz Tapia M, Cavallé L, Gelvez N, Primignani P, Gómez-Rosas E, Martín M, Moreno-Pelayo MA, Tamayo M, Moreno-Barral J, Moreno F, del Castillo I. *A multicenter study on the prevalence and spectrum of mutations in the otoferlin gene (OTOF) in subjects with nonsyndromic hearing impairment and auditory neuropathy*. Hum Mutat. 2008 Jun;29(6):823-31. doi: 10.1002/humu.20708. PMID: 18381613.

Communiqué de presse

Dans le cadre de la désignation « maladie pédiatrique rare », un promoteur qui reçoit une approbation pour un médicament ou un produit biologique pour une « maladie pédiatrique rare » peut bénéficier d'un bon qui peut être échangé afin de recevoir une revue accélérée d'une demande de mise sur le marché ultérieure pour un produit différent ou être vendu à un autre promoteur pour une revue accélérée de sa demande de mise sur le marché, ce qui représente une opportunité pour laquelle il existe un marché dynamique.

À propos de Sensorion

Sensorion est une société de biotechnologie pionnière au stade clinique dédiée au développement de thérapies innovantes pour restaurer, traiter et prévenir les troubles de l'audition, un important besoin médical non-satisfait.

Sensorion a développé une plateforme unique de R&D pour approfondir sa compréhension de la physiopathologie et de l'étiologie des maladies de l'oreille interne, lui permettant de sélectionner les meilleures cibles thérapeutiques et mécanismes d'action appropriés à ses candidats médicaments. Son portefeuille comprend des programmes de petites molécules ainsi qu'un portefeuille préclinique de thérapies géniques de l'oreille interne.

Son portefeuille de produits en phase clinique comprend un produit de Phase 2 : le SENS-401 (Arazasetron) qui progresse dans une étude clinique de Preuve de Concept dans l'ototoxicité induite par le cisplatine (CIO), et dans une étude en partenariat avec Cochlear Limited, chez des patients devant recevoir un implant cochléaire. Une étude de Phase 2 du SENS-401 dans la perte auditive neurosensorielle soudaine (SSNHL) a également été finalisée en janvier 2022.

Sensorion poursuit sa large collaboration stratégique avec l'Institut Pasteur ciblant la génétique de l'audition. Sensorion développe deux programmes de thérapie génique visant à corriger les formes monogéniques héréditaires de surdité, parmi lesquelles OTOF-GT, visant la surdité causée par une mutation du gène codant pour l'Otoferline, et la perte auditive liée à la mutation du gène *GJB2*, afin de potentiellement traiter d'importants segments de perte auditive chez les adultes et les enfants (GJB2-GT). La société travaille également sur l'identification de biomarqueurs afin d'améliorer le diagnostic de ces maladies peu ou mal soignées.

www.sensorion.com

Contacts

Relations investisseurs

Noémie Djokovic
Chargée des Relations Investisseurs et de la
Communication
+33 6 76 67 98 31
ir.contact@sensorion-pharma.com

Relations presse

Consilium Communication Stratégique
Mary-Jane Elliott/Jessica Hodgson
+44 7739 788014
+44 7561 424788
sensorion@consilium-comms.com

Étiquette : **SENSORION**
ISIN : **FR0012596468**
Mnémonique : **ALSEN**



Avertissement

Le présent communiqué contient des déclarations prospectives relatives à Sensorion et à ses activités. Sensorion estime que ces déclarations prospectives reposent sur des hypothèses raisonnables. Cependant, aucune garantie ne peut être donnée quant à la réalisation des prévisions exprimées dans ces déclarations prospectives qui sont soumises à des risques, dont ceux décrits dans le Rapport Financier Annuel 2021 publié le 28 avril 2022 et disponible sur le site internet de la Société, et à l'évolution de la conjoncture économique, des marchés financiers et des marchés sur lesquels Sensorion est présente. Les déclarations prospectives figurant dans le présent communiqué sont également soumises à des risques inconnus de Sensorion ou que Sensorion ne considère pas comme significatifs à cette date. La réalisation de tout ou partie de ces risques pourrait conduire à ce que les résultats réels, conditions financières, performances ou réalisations de Sensorion diffèrent significativement des résultats, conditions financières, performances ou réalisations exprimés dans ces déclarations prospectives. Le présent communiqué et les informations qu'il contient ne constituent pas, ni ne sauraient être interprétés comme une offre ou une invitation de vente ou de souscription, ou la sollicitation de tout ordre ou invitation d'achat ou de souscription d'actions Sensorion dans un quelconque pays. La diffusion de ce communiqué dans certains pays peut constituer une violation des dispositions légales en vigueur. Les personnes en possession du communiqué doivent donc s'informer des éventuelles restrictions locales et s'y conformer.