

Sensorion annonce la sélection du candidat thérapeutique pour son programme de thérapie génique GJB2

- **Journée R&D consacrée à la thérapie génique pour les troubles de l'oreille interne le 6 avril 2023**

Montpellier, 6 avril 2023 – Sensorion (FR0012596468 – ALSEN), société de biotechnologie pionnière au stade clinique, spécialisée dans le développement de thérapies géniques pour l'oreille interne, présentera de nouvelles données permettant l'identification d'un candidat thérapeutique pour le programme GJB2-GT, afin de traiter la perte d'audition liée à des mutations du gène *GJB2*, à l'occasion de sa Journée R&D, qui a lieu aujourd'hui, jeudi 6 avril 2023 (informations relatives à cet événement ci-dessous).

Le candidat thérapeutique, conçu avec une capsid virale adéno-associée (AAV) spécifique, cible les cellules ciliées clés qui expriment habituellement *GJB2* et ne provoque pas d'ototoxicité.

Sensorion fera avancer son candidat vers des activités nécessaires à la soumission d'une demande d'autorisation d'essai clinique auprès de la Food and Drug Administration (FDA) américaine permettant un développement clinique dans trois indications liées aux mutations du gène *GJB2* : des formes précoces de presbycusie sévère chez les adultes, la perte d'audition pendant l'enfance et la perte d'audition pédiatrique congénitale.

Géraldine Honnet, Directrice Médicale de Sensorion, a déclaré : « Nous sommes très fiers d'avoir sélectionné un candidat médicament pour notre programme GJB2-GT, le deuxième programme de notre portefeuille passionnant de candidats de thérapie génique, développé en collaboration avec l'Institut Pasteur. GJB2-GT a le potentiel de proposer des solutions thérapeutiques pérennes aux patients souffrant de troubles de l'audition dus à des mutations du gène *GJB2*.

« Sensorion estime que la thérapie a le potentiel de transformer des vies et nous sommes ravis de faire progresser ce candidat prometteur vers un développement clinique. Nous pensons avoir sélectionné un candidat qui est optimal et bien intégré dans le cadre de nos capacités internes de production CMC, ce qui permet un transfert de technologie simplifié à nos partenaires de production pharmaceutiques CDMO ».

Sensorion, en collaboration avec l'Institut Pasteur, a obtenu des données de Preuve de Concept (POC) positives chez des Primates Non-Humains et des modèles de souris reproduisant les formes congénitales et progressives présentes chez l'homme, qui confirment le potentiel du candidat à traiter les pertes d'audition liées aux mutations du gène *GJB2*.

Christine Petit, Professeur à l'Institut Pasteur et Professeur au Collège de France, a ajouté : « Les formes génétiques de surdité restent incurables. La connaissance de l'architecture génétique de la surdité humaine a ouvert la voie au développement de traitements basés notamment sur la thérapie génique. La conception, l'optimisation et la définition précise du champ d'application des produits de thérapie génique dépendent essentiellement de modèles pertinents de formes humaines de surdité causées par diverses variantes pathogènes des gènes de la surdité.

« Dans le cadre de notre collaboration avec Sensorion, qui vise les différentes formes de surdité liées à des défauts du gène *GJB2*, codant pour la protéine Connexine 26, le développement de différents modèles de souris reproduisant les indications cliniques liées aux déficits en *GJB2* nous a permis de faire progresser vers un développement préclinique un produit de thérapie génique prometteur ciblant les cellules cochléaires qui fabriquent spécifiquement la Connexine 26 ».

Les mutations du gène *GJB2* sont les formes les plus fréquentes de surdité congénitale et il est estimé qu'elles affectent environ 300 000 patients adultes et pédiatriques aux Etats-Unis, en Europe et au Japon. La sévérité de ces mutations varie de légère à profonde, mais elle oscille généralement de sévère à profonde.

En parallèle, Sensorion prévoit la soumission d'une demande d'autorisation d'essai clinique, au cours de ce trimestre, pour OTOF-GT, son programme de thérapie génique à double vecteur AAV pour le traitement des pertes d'audition dont souffrent les enfants nés avec une déficience en otoferline. Sensorion a reçu la Désignation de Médicament Orphelin pour OTOF-GT de la part de la Food and Drug Administration américaine et de l'Agence Européenne des Médicaments.

Journée R&D consacrée à la thérapie génique pour les maladies de l'oreille interne

Sensorion organise une **Journée R&D** qui se tiendra le jeudi 6 avril 2023, à 14h CEST (8h EDT). L'évènement se tiendra à l'Institut de l'Audition, centre de l'Institut Pasteur, situé au 63, rue de Charenton, 75012 à Paris, en France. Une retransmission en direct et un replay de la présentation seront également disponibles. Pour vous inscrire à la retransmission en direct, veuillez cliquer [ici](#).

L'équipe de direction de Sensorion, dont notamment Nawal Ouzren, Directrice Générale, Géraldine Honnet, Directrice Médicale, Laurent Désiré, Ph.D., Directeur du Développement Préclinique et Christine Le Bec, Ph.D., Directrice CMC Thérapie Génique, fera le point sur les plans de développement de la Société et les jalons attendus en 2023.

L'évènement comprendra également des présentations de cliniciens et de scientifiques internationaux de renom du domaine de l'audition, qui porteront sur les besoins du patient, le paysage thérapeutique et le marché ainsi que l'approche chirurgicale propres aux secteurs clés des formes monogéniques héréditaires de surdité.

Cette journée R&D Day accueillera les intervenants suivants :

- **Le Professeur Christine Petit**, M.D., Ph.D., Professeur émérite au Collège de France, Professeur de « Classe Exceptionnelle » à l'Institut Pasteur, Directrice du laboratoire d'innovation en thérapies de l'audition, à Paris, en France
- **Barbara Kelley**, Directrice de l'Association Américaine des Malentendants (*Hearing Loss Association of America*, HLAA), la principale association nationale américaine pour la représentation des personnes souffrant de troubles de l'audition, à Washington DC, aux Etats-Unis
- **Le Professeur Natalie Loundon**, M.D., Ph.D., Directrice du Centre de Recherche en Audiologie pédiatrique, Chirurgien tête et cou et ORL (oto-rhino-laryngologie) pédiatrique à l'Hôpital Necker Enfants Malades, AP-HP, à Paris, en France

Programme de la Journée R&D :

- **Mot de bienvenue et introduction**, *Nawal Ouzren*
- **Prise en compte du ressenti du patient pour les soins de demain**, *Barbara Kelley*
- **Surdité : De l'architecture génétique à la thérapie génique**, *Pr Christine Petit*
- **Programme GJB2-GT : Les données qui guideront les prochaines étapes**, *Dr Laurent Désiré*
- **Programme GJB1-GT : Les Etudes d'Histoire Naturelle pour préparer l'exécution des essais cliniques**, *Dr Géraldine Honnet*
- **Déficience en otoferline : Approches de la restauration de l'audition**, *Pr Natalie Loundon*
- **Programme OTOF-GT : SENS-501, le programme de thérapie génique le plus avancé de Sensorion**, *Dr Laurent Désiré*
- **Permettre une fabrication des thérapies géniques et un contrôle analytique fiables**, *Dr Christine Le Bec*
- **Session de questions et réponses et clôture**

À propos de Sensorion

Sensorion est une société de biotechnologie pionnière au stade clinique dédiée au développement de thérapies géniques innovantes pour restaurer 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.

Sensorion développe dans le cadre de la mise en place d'une large collaboration stratégique ciblant la génétique de l'audition avec l'Institut Pasteur, deux programmes de thérapie génique visant à corriger les formes monogéniques héréditaires de surdité. OTOF-GT vise la surdité causée par des mutations du gène codant pour l'otoferline et GJB2-GT cible la perte auditive liée à des mutations du gène *GJB2*, afin de potentiellement traiter d'importants segments de perte auditive chez les adultes et les enfants. La société travaille également sur l'identification de biomarqueurs afin d'améliorer le diagnostic de ces maladies peu ou mal soignées.

Communiqué de presse

Le portefeuille de Sensorion comprend également des programmes de petite molécule au stade clinique pour le traitement et la prévention des troubles de l'audition.

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.

www.sensorion.com

Contacts

Relations investisseurs

David Lawrence, Directeur Financier
(Royaume-Uni / Etats-Unis)
Noémie Djokovic, Chargée des Relations Investisseurs
et de la Communication (Europe / France)
ir.contact@sensorion-pharma.com

Relations presse

Consilium Communication Stratégique
Matthew Cole/Jessica Hodgson/Sue Stuart
+44 7593 572720
+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 2022 publié le 30 mars 2023 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.