

## Sensorion soumet une demande d'autorisation d'essai clinique, en Europe, pour OTOF-GT, son produit de thérapie génique le plus avancé

**Montpellier, 19 juillet, 2023, 7h30 CET – Sensorion (FR0012596468 – ALSEN)** société de biotechnologie pionnière au stade clinique, dédiée au développement de thérapies innovantes pour restaurer, traiter et prévenir les pertes d'audition, annonce aujourd'hui avoir soumis une demande d'autorisation d'essai clinique (CTA) pour initier un essai clinique de phase 1/2 avec OTOF-GT en Europe (France, Italie et Allemagne).

Pour rappel, le 10 juillet 2023, Sensorion a soumis une première demande pour OTOF-GT auprès de l'Agence britannique de réglementation des médicaments et des produits de santé (MHRA).

L'essai clinique de phase 1/2, Audiogene, vise à évaluer la sécurité, la tolérance et l'efficacité de l'administration intra-cochléaire d'OTOF-GT, pour le traitement de la perte auditive liée au gène de l'otoferline chez des patients âgés de 6 à 31 mois. La soumission du CTA fait suite à des études précliniques approfondies ayant permis l'évaluation de la sécurité et de l'efficacité d'OTOF-GT et à la réussite de la production d'un lot du produit pharmaceutique de thérapie génique pour l'essai clinique.

OTOF-GT, le programme de thérapie génique Adéno-Associé (AAV) à double vecteur de Sensorion est développé dans l'optique de restaurer l'audition des patients porteurs de mutations liées à un déficit en otoferline souffrant d'une perte d'audition neurosensorielle sévère à profonde, prélinguale, et non syndromique. L'otoferline est une protéine qui est exprimée dans les cellules ciliées internes (IHC) présentes dans la cochlée et qui est essentielle à la transmission du signal jusqu'au nerf auditif. La perte d'audition liée à la déficience en otoferline est 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 Europe<sup>1</sup>. OTOF-GT a reçu précédemment la désignation de médicament orphelin (ODD) de la Food and Drug Administration (FDA)<sup>2</sup> américaine et de l'Agence européenne des médicaments (EMA)<sup>3</sup> ainsi que la désignation de maladie pédiatrique rare (RPDD) de la FDA au 4<sup>e</sup> trimestre 2022.

**Nawal Ouzren, directrice générale de Sensorion**, a commenté : « Nos programmes de thérapie génique, dont OTOF-GT est le projet le plus avancé, ouvrent de grands espoirs pour de nombreux enfants atteints de surdité congénitale, aujourd'hui privés de traitements curatifs approuvés. Avec ce dépôt de demande d'autorisation en Europe, nous franchissons les dernières étapes avant le démarrage de l'essai clinique pour OTOF-GT, et confortons notre place parmi les leaders dans le domaine des thérapies géniques appliquées aux troubles de l'audition. Nous restons concentrés sur le calendrier de développement et sur la valorisation de ce portefeuille de candidat-médicaments innovants, dans le respect des engagements pris vis-à-vis des patients, des partenaires académiques et hospitaliers nous accompagnant et des actionnaires qui nous soutiennent ».

---

<sup>1</sup> 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.

<sup>2</sup> FDA Orphan Drug Designations and Approvals <https://www.accessdata.fda.gov/scripts/opdlisting/oopd/listResult.cfm>

<sup>3</sup> EU Community Register of orphan medicinal products <https://ec.europa.eu/health/documents/community-register/html/o2698.htm>

## Communiqué de presse

**Géraldine Honnet, directrice médicale de Sensorion**, a ajouté : « Nous sommes impatients d'entrer en phase clinique pour OTOF-GT, notre premier programme de thérapie génique, pour répondre à des besoins médicaux non satisfaits dans le domaine complexe de l'audition. Dans l'attente des autorisations des autorités réglementaires, nous nous tenons prêts à recruter les premiers patients, âgés de 6 à 31 mois, et à leur offrir l'accès à un traitement innovant ayant le potentiel de corriger leur perte d'audition liée à un déficit en otoferline. La perte auditive causée par des mutations du gène codant pour l'otoferline est une maladie handicapante pour laquelle aucun médicament n'est actuellement approuvé ».

### 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.

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 Sensorion peu ou mal soignées.

Le portefeuille 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 (CIC), 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](http://www.sensorion.com)

### Contacts

#### Relations Investisseurs

Noémie Djokovic, Investor Relations and Communications (Europe/France)

[ir.contact@sensorion-pharma.com](mailto:ir.contact@sensorion-pharma.com)

#### Relations Presse

Ulysse Communication

Pierre-Louis Germain / 00 33 (0)6 64 79 97 51

[plgermain@ulyse-communication.com](mailto:plgermain@ulyse-communication.com)

Bruno Arabian / 00 00(0)6 87 88 47 26

[barabian@ulyse-communication.com](mailto:barabian@ulyse-communication.com)

#### International Media Relations

Consilium Strategic Communications

Jessica Hodgson/Sue Stuart/Isabelle Abdou

+44 7561 424788

[Sensorion@consilium-comms.com](mailto:Sensorion@consilium-comms.com)

Label: **SENSORION**  
ISIN: **FR0012596468**  
Mnemonic: **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



### ***Communiqué de presse***

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.