

Sensorion annonce la finalisation du recrutement de la première cohorte de l'essai clinique Audiogene de Phase 1/2 de thérapie génique

Montpellier, 27 décembre 2024, 7h30 – Sensorion (FR0012596468 – ALSEN), société pionnière de biotechnologie au stade clinique, spécialisée dans le développement de nouvelles thérapies pour restaurer, traiter et prévenir dans le domaine des troubles de la perte auditive, annonce aujourd'hui la finalisation du recrutement de la première cohorte de l'essai clinique Audiogene dans le cadre de l'étude de Phase 1/2 de thérapie génique.

Le recrutement de la première cohorte (trois patients) s'est achevé tel que prévu, le troisième patient ayant reçu une injection du produit de thérapie génique SENS-501 en décembre 2024. Pour tous les patients traités dans la première cohorte, la procédure chirurgicale a bien été tolérée : l'administration intra-cochléaire du produit de thérapie génique s'est déroulée sans incident et aucun événement indésirable grave n'a été signalé. Audiogene est le premier essai clinique de thérapie génique portant sur une population homogène unique de nourrissons et de jeunes enfants (âgés de 6 à 31 mois au moment de l'injection) n'ayant jamais reçu d'implants cochléaires. Audiogene a été conçu dans l'intention non seulement d'évaluer la capacité du produit de thérapie génique SENS-501 à restaurer l'audition, mais aussi de permettre aux nourrissons et aux enfants en bas âge d'acquérir et de développer un langage normal.

Nawal Ouzren, Directrice Générale de Sensorion, a déclaré : « *Je suis très heureuse des progrès réalisés par Sensorion dans cet essai clinique de thérapie génique de Phase 1/2. L'injection du troisième et dernier patient de la première cohorte, moins d'un an après l'autorisation de la demande d'essai clinique, est un accomplissement majeur pour Sensorion. La chirurgie du nourrisson s'est déroulée sans incident et aucun effet indésirable grave n'a été signalé. Je suis enthousiaste à l'idée de tenir un séminaire en ligne, au début de l'année 2025, en compagnie de leaders d'opinion, afin de présenter et commenter un ensemble de données plus complet. Je suis impatiente de suivre l'évolution de l'effet du SENS-501 et d'évaluer sa capacité à restaurer l'audition et permettre potentiellement une acquisition et un développement normaux de la parole chez les jeunes enfants et les nourrissons traités* ».

À propos de l'essai Audiogene

Audiogene vise à évaluer la sécurité, la tolérance et l'efficacité de l'injection intra-cochléaire de SENS-501 pour le traitement de la déficience auditive médiée par le gène *OTOF* chez des patients pédiatriques âgés de 6 à 31 mois au moment du traitement de thérapie génique. En ciblant les premières années de la vie, période où la plasticité cérébrale est optimale, les chances de ces jeunes enfants atteints d'une perte auditive pré-linguistique d'acquérir une parole et un langage normaux sont maximisées. L'étude comprend deux cohortes de deux doses suivies d'une cohorte d'expansion à la dose sélectionnée. Alors que la sécurité sera le principal critère d'évaluation de la première partie de l'étude d'escalade de dose, la réponse auditive du tronc cérébral (ABR) sera le principal critère d'évaluation de l'efficacité de la seconde partie d'expansion. Audiogene évaluera également la sécurité clinique, la performance et la facilité d'utilisation du système d'administration développé par Sensorion.

À propos de SENS-501

SENS-501 (OTOF-GT) est un programme innovant de thérapie génique développé pour traiter une forme spécifique de surdité congénitale liée à des mutations du gène *OTOF* (otoférine). Ce gène joue un rôle clé dans la transmission des signaux auditifs entre les cellules ciliées de l'oreille interne et le nerf auditif. Lorsque ce gène est défectueux, les personnes atteintes naissent avec une perte auditive sévère à profonde.

L'objectif de SENS-501 (OTOF-GT) est de restaurer l'audition en introduisant une copie fonctionnelle du gène *OTOF* directement dans les cellules ciliées via la technologie des vecteurs viraux (AAV). Cette thérapie vise à rétablir le processus normal de conversion des sons en signaux électriques, permettant ainsi aux patients de retrouver leur capacité auditive.

Actuellement en phase de recherche clinique, ce programme de thérapie génique représente un espoir important pour les familles touchées par cette forme rare de surdité génétique. SENS-501 (OTOF-GT) incarne un

Communiqué de presse

engagement en faveur de l'innovation scientifique dans le domaine de l'audition, avec le potentiel d'améliorer considérablement la qualité de vie des patients souffrant de surdité génétique.

Cette thérapie génique pour des patients souffrant de déficience en otoferline a été développée dans le cadre du RHU AUDINNOVE, un consortium composé de l'Hôpital Necker Enfants Malades, de l'Institut Pasteur, de la Fondation pour l'Audition et de Sensorion. Ce projet est en partie financé par l'Agence Nationale de la Recherche française au titre du programme d'investissements d'avenir portant la référence ANR-18-RHUS-0007.

À propos de Sensorion

Sensorion est une société de biotechnologie pionnière au stade clinique, spécialisée dans le développement de nouvelles thérapies pour restaurer, traiter et prévenir les troubles de la perte auditive, un important besoin médical non satisfait à l'échelle mondiale. Sensorion a mis en place une plateforme technologique unique de recherche et développement afin de mieux comprendre la physiopathologie et l'étiologie des maladies liées à l'oreille interne, ce qui lui permet de sélectionner les meilleures cibles et les meilleurs mécanismes d'action pour les médicaments candidats.

Elle dispose de deux programmes de thérapie génique visant à corriger les formes monogéniques héréditaires de surdité, développés dans le cadre de sa large collaboration stratégique sur la génétique de l'audition avec l'Institut Pasteur. SENS-501 (OTOF-GT), qui fait actuellement l'objet d'un essai clinique de Phase 1/2, cible 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 d'aborder potentiellement d'importants segments de la perte auditive chez les adultes et les enfants. La société travaille également à l'identification de biomarqueurs pour améliorer le diagnostic de ces maladies mal desservies.

Le portefeuille de Sensorion comprend également des programmes de petites molécules en phase clinique pour le traitement et la prévention des troubles de la perte auditive. Le portefeuille de Sensorion au stade clinique comprend un produit en Phase 2 : SENS-401 (Arazasetron) qui progresse dans une étude clinique de preuve de concept de Phase 2 prévue pour SENS-401 dans l'ototoxicité induite par le cisplatine (CIO) et, avec son partenaire Cochlear Limited, a terminé une étude de SENS-401 chez des patients devant subir une implantation cochléaire. Une étude de Phase 2 de SENS-401 a également été achevée en janvier 2022 dans la perte auditive neurosensorielle soudaine (SSNHL).

www.sensorion.com

Contacts

Relations Investisseurs

Noémie Djokovic, Chargée des Relations
Investisseurs et Communication

ir.contact@sensorion-pharma.com

Relations Presse

Ulysse Communication

Bruno Arabian / 00 33(0)6 87 88 47 26

barabian@ulyse-communication.com

Nicolas Entz / 00 33 (0)6 33 67 31 54

nentz@ulyse-communication.com

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



Avertissement

Ce communiqué de presse contient certaines déclarations prospectives concernant Sensorion et ses activités. Ces déclarations prospectives sont basées sur des hypothèses que Sensorion considère comme raisonnables. Cependant, il ne peut y avoir aucune assurance que ces déclarations prospectives seront vérifiées, ces déclarations étant soumises à de nombreux risques, y compris les risques énoncés dans le rapport annuel 2023 publié le 14 mars 2024 et disponible sur notre site internet et à l'évolution des conditions économiques, des marchés financiers et des marchés sur lesquels Sensorion opère. Les déclarations prospectives contenues dans ce communiqué de presse sont également soumises à des risques qui ne sont pas encore connus de Sensorion ou qui ne sont pas actuellement considérés comme importants par Sensorion. La survenance de tout ou partie de ces risques pourrait conduire à ce que les résultats réels, les conditions financières, les performances ou les réalisations de Sensorion soient matériellement différents de ces déclarations prospectives. Ce communiqué de presse et les informations qu'il contient ne constituent pas une offre de vente ou de souscription, ou une sollicitation d'une offre d'achat ou de souscription, des actions de Sensorion dans un quelconque pays. La communication de ce communiqué dans



Communiqué de presse

certain pays peut constituer une violation des lois et réglementations locales. Tout destinataire du présent communiqué doit s'informer de ces éventuelles restrictions locales et s'y conformer.