

## Sensorion présente des données de l'essai clinique de Phase 1/2 de thérapie génique Audiogene

2024-12-18

- Le produit de thérapie génique SENS-501 et la procédure chirurgicale sont bien tolérés par les deux premiers patients traités et des évolutions comportementales encourageantes sont observées chez ces deux nourrissons
- Sensorion prévoit la tenue d'un séminaire en ligne avec des leaders d'opinion au début de l'année 2025 afin de détailler et commenter les données de sécurité de la première cohorte, les mesures qualitatives et quantitatives de l'efficacité, ainsi que les prochaines étapes de développement de l'étude clinique de Phase 1/2 Audiogene, notamment les interactions prévues avec la Food and Drug Administration américaine

MONTPELLIER, France--(BUSINESS WIRE)-- Regulatory News:

**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 de nouvelles données confirmant la sécurité du SENS-501 chez les deux premiers patients injectés dans l'étude Audiogene menée par la Société. Il s'agit d'un essai clinique de Phase 1/2 évaluant le SENS-501 chez des patients âgés de 6 à 31 mois, naïfs d'implant cochléaire, souffrant d'une forme spécifique de surdité congénitale liée à des mutations du gène OTOF (otoferline).

Le critère principal de la première partie d'escalade de dose de l'étude clinique Audiogene est la sécurité d'une injection intra-cochléaire de SENS-501 chez des nourrissons et jeunes enfants 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, Sensorion vise à maximiser les chances de ces jeunes enfants d'acquérir la parole et le langage, transformant ainsi potentiellement leur vie. Pour les deux premiers nourrissons traités dans la première cohorte, le produit de thérapie génique SENS-501 et la procédure chirurgicale ont été bien tolérés : l'administration intra-cochléaire du produit de thérapie génique s'est déroulée sans incident et aucun événement indésirable grave n'a

été signalé. En outre, des améliorations comportementales encourageantes ont été observées chez les deux petits enfants. Sensorion prévoit la tenue d'un séminaire en ligne avec des leaders d'opinion au début de l'année 2025 afin de détailler et commenter les données de sécurité de la première cohorte, les mesures qualitatives et quantitatives de l'efficacité, ainsi que les prochaines étapes de développement de l'étude clinique de Phase 1/2 Audiogene, notamment les interactions prévues avec la Food and Drug Administration américaine. Des renseignements complémentaires au sujet de cet événement seront communiqués prochainement.

La Société continue de prévoir l'achèvement du recrutement de la première cohorte d'ici la fin de l'année et le recrutement de la deuxième cohorte d'ici la fin du premier semestre 2025.

**Géraldine Honnet, Directrice Médicale de Sensorion, déclare :** « Je suis très satisfaite des progrès réalisés dans l'essai clinique de Phase 1/2 d'Audiogene évaluant le SENS-501, une thérapie qui pourrait potentiellement révolutionner le paysage thérapeutique des traitements des troubles de l'audition et que nous développons en collaboration avec l'Institut Pasteur. Les résultats d'aujourd'hui confirment l'excellent profil de sécurité pour les premiers enfants traités avec SENS-501 et je suis heureuse qu'aient été observés des signes précoces de changements comportementaux encourageants chez les deux patients. Nous sommes impatients de traiter le troisième patient de la première cohorte dans les plus brefs délais, franchissant ainsi une étape importante pour le développement de Sensorion. Nous organiserons un séminaire avec des leaders d'opinion en début d'année prochaine et nous présenterons davantage de données de sécurité et d'efficacité pour les patients inclus dans notre première cohorte.

Je suis convaincue que l'approche clinique différenciée de Sensorion établira de nouveaux standards dans le domaine de la thérapie génique pour le déficit en otoferline. En effet, l'étude a été conçue pour évaluer si le SENS-501 peut démontrer non seulement la restauration de l'audition dans une population très homogène de nourrissons et de jeunes enfants, mais aussi l'acquisition et le développement du langage, et, par conséquent, des améliorations significatives de la qualité de vie qui en résultent. J'aimerais réitérer ma gratitude aux parents des patients traités pour leur confiance, et aux investigateurs participants pour leur engagement continu dans l'étude Audiogene et leur conviction dans le potentiel de SENS-501 à créer un nouveau paradigme de traitement pour cette forme de surdité invalidante ».

**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, Investigatrice coordinatrice de l'étude clinique Audiogene a commenté :** « Les résultats préliminaires fournissent des données très satisfaisantes sur la sécurité du SENS-501 pour les patients. La thérapie génique représente un véritable espoir de traitement thérapeutique, d'amélioration de l'audition, de l'acquisition de la parole et de la qualité de vie des enfants nés sourds à cause de mutations du gène de l'otoferline (DFNB9). Nous

attendons avec impatience la prochaine communication de données de la première cohorte d'Audiogene, dont les patients reçoivent la dose la plus faible étudiée pour la restauration de l'audition dans cette population, et je suis enthousiaste à l'idée de poursuivre notre travail sur l'étude clinique Audiogene ».

### **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.

Cette thérapie génique pour les patients souffrant d'un déficit en otoferline a été développée dans le cadre du RHU AUDINNOVE, un consortium composé de Sensorion avec l'Institut Pasteur, l'Hôpital Necker Enfants Malades et la Fondation pour l'Audition. Le projet est partiellement financé par l'Agence Nationale de la Recherche, dans le cadre du programme "Investissements d'avenir" (réf : ANR-18-RHUS-0007).

### **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 (otoferline). 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). En remplaçant le gène défectueux, 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 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 surdit , développ s dans le cadre de sa large collaboration strat gique sur la g n tique 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 surdit  caus e par des mutations du g ne codant pour l'otoferline et GJB2-GT cible la perte auditive li e   des mutations du g ne GJB2 afin d'aborder potentiellement d'importants segments de la perte auditive chez les adultes et les enfants. La soci t  travaille  galement   l'identification de biomarqueurs pour am liorer le diagnostic de ces maladies mal desservies.

Le portefeuille de Sensorion comprend  galement des programmes de petites mol cules en phase clinique pour le traitement et la pr vention 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  tude clinique de preuve de concept de Phase 2 pr vue pour SENS-401 dans l'ototoxicit  induite par le cisplatine (CIS) et, avec son partenaire Cochlear Limited, a termin  une  tude de SENS-401 chez des patients devant subir une implantation cochl aire. Une  tude de Phase 2 de SENS-401 a  galement  t  achev e en janvier 2022 dans la perte auditive neurosensorielle soudaine (SSNHL).

[www.sensorion.com](http://www.sensorion.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 certains 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.

## **Relations Investisseurs**

Noémie Djokovic, Chargée des Relations Investisseurs et Communication

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

## **Relations Presse**

Ulysse Communication

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

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

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

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

Source: Sensorion