

Sensorion finalise le recrutement des patients de la deuxième cohorte de l'essai clinique de Phase 1/2 de thérapie génique Audiogene

2025-07-29

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 les troubles de la perte auditive, annonce aujourd'hui la fin du recrutement des patients de la deuxième cohorte de son essai clinique de Phase 1/2 Audiogene évaluant le SENS-501, la thérapie génique développée par la Société pour traiter une forme spécifique de surdité congénitale liée à des mutations du gène OTOF (otoferline).

Le recrutement de la deuxième cohorte, composée de trois patients âgés de 6 à 31 mois au moment du traitement s'est récemment achevé avec l'injection du troisième patient. Les patients de cette seconde cohorte ont reçu, une injection unilatérale de SENS-501 à la dose de 4,5E11 vg/vecteur/oreille, dose supérieure à celle de la première cohorte (1,5E11 vg/vecteur/oreille). Pour tous les patients traités dans la première et deuxième cohorte, la procédure chirurgicale a bien été tolérée : l'administration intra-cochléaire du produit de thérapie génique s'est déroulée sans incident. Aucun événement indésirable grave et aucun effet secondaire grave n'a été signalé. Des signes précoces d'amélioration de l'audition ont été observés chez le patient 3, âgé de 11 mois au moment de l'injection, trois mois après avoir reçu l'injection de la faible dose de thérapie génique.

Nawal Ouzren, Directrice Générale de Sensorion, déclare : « L'achèvement du recrutement des patients de la deuxième cohorte d'Audiogene est une étape importante car elle nous permet d'attester de la sécurité de l'approche chirurgicale que nous avons sélectionnée, puisqu'aucun événement indésirable grave n'a été observé chez les six patients injectés et de la bonne tolérabilité du SENS-501 jusqu'à ce jour. Je me réjouis de faire progresser ce programme innovant et unique vers les prochaines étapes de développement, notamment avec la réunion prévue du Comité de suivi des données, et la communication de nouveaux résultats dès que les données

auront atteint un degré de maturité suffisant. Au nom de mes collègues, je tiens à remercier les familles de ces très jeunes patients pour leur confiance, ainsi que tous les professionnels de santé impliqués dans cet essai clinique ».

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 ajouté : « Je suis ravie que nous ayons terminé avec succès le recrutement des patients de la deuxième cohorte de l'essai de thérapie génique de Phase 1/2 d'Audiogene. La bonne tolérance des patients à SENS-501 jusqu'à aujourd'hui et les données préliminaires positives de la première cohorte sont des premières étapes très encourageantes pour la poursuite de cet essai qui a le potentiel de répondre à un important besoin médical non satisfait au niveau mondial. Une fois de plus, je tiens à remercier les familles des patients pour leur confiance ».

Audiogene ([ClinicalTrials.gov ID : NCT06370351](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT06370351)) 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 et naïfs d'implants cochléaires au moment de l'injection, conformément au protocole de l'étude). La conception de l'essai clinique d'Audiogene vise à évaluer la sécurité et la tolérabilité du produit de thérapie génique SENS-501, ainsi que sa capacité non seulement à restaurer l'audition, mais aussi à permettre aux nourrissons et aux enfants en bas âge d'acquérir et de développer un langage normal. Par ailleurs, Audiogene vise également à évaluer la facilité d'utilisation, les performances cliniques et techniques du système d'injection en cours de développement.

À propos du 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.

Le gène OTOF, ciblé par l'essai Audiogene, a été découvert en 1999 à l'Institut Pasteur par l'équipe du Pr Christine Petit (Institut reConnect, Institut de l'Audition, Institut Pasteur) qui a également élucidé la physiopathologie de la surdité correspondante (DFNB9).

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 est 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 évalue également la sécurité clinique, la performance et la facilité d'utilisation du système d'administration développé par Sensorion.

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 développement d'une petite molécule en phase clinique pour le traitement et la prévention des troubles de la perte auditive, le SENS-401 (Arazasetron). La

petite molécule de Sensorion progresse dans une étude clinique de preuve de concept de Phase 2 prévue pour la préservation de l'audition dans l'ototoxicité induite par le cisplatine (CIO). Sensorion, avec son partenaire Cochlear Limited, a terminé en 2024 une étude de Phase 2a du SENS-401 pour la préservation de l'audition résiduelle 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

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 2024 publié le 14 mars 2025 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

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

Source: Sensorion