

## Sensorion publie les données à six mois de l'essai clinique de Phase 1/2 Audiogene pour SENS-501 et poursuit le développement clinique du GJB2-GT (SENS-601) vers une première administration chez l'homme

2026-03-23

- Les données de suivi à six mois de la Cohorte 2 de l'essai Audiogene ont démontré des signaux d'efficacité précoces soutenus, suggérant une relation dose-réponse entre les cohortes ; Sensorion envisage un troisième niveau de dose, et consultera les autorités réglementaires
- Le savoir-faire clinique acquis au travers d'Audiogene renforce la plateforme de thérapie génique de Sensorion, alors que la Société fait progresser le programme GJB2 (SENS-601), qui cible la première cause de surdité congénitale génétique (soumission de la CTA prévue au S1 2026 et soumission IND ciblée d'ici fin 2026)
- Présentation des données précliniques du GJB2-GT (SENS-601) au congrès annuel de l'American Society of Gene & Cell Therapy (ASGCT) en mai 2026

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, publie aujourd'hui les données d'efficacité à six mois de la Cohorte 2 de l'essai clinique de Phase 1/2 Audiogene évaluant le SENS-501, sa thérapie génique pour le traitement de la surdité congénitale liée à des mutations du gène OTOF (otoferline), et présente une mise à jour du calendrier d'avancement de son programme de thérapie génique GJB2-GT (SENS-601) pour le développement clinique en Europe et aux États-Unis.

Les améliorations directionnelles précoces en audiométrie tonale rapportées à trois mois chez deux des trois

patients traités avec la dose la plus élevée de SENS-501 (Cohorte 2) se sont maintenues lors de l'évaluation de suivi à six mois. Ces résultats s'appuient sur les observations de la Cohorte 1, où des premiers signes d'activation de la voie auditive avaient été rapportés à un niveau de dose inférieur, et suggèrent une relation dose-réponse entre les deux cohortes. Sur l'ensemble des six patients traités dans la phase d'escalade de dose, la procédure chirurgicale et l'administration intra-cochléaire de SENS-501 ont continué d'être bien tolérées, sans événement indésirable grave ni effet secondaire grave rapporté.

Sur la base du signal dose-réponse observé au travers des deux premières cohortes, la Société envisage un troisième niveau de dose dans le cadre de l'essai Audiogene, et consultera les autorités réglementaires dans le cadre de cette évaluation, tout en continuant de suivre l'évolution du cadre réglementaire et de l'environnement concurrentiel des thérapies géniques dans le domaine de la perte auditive.

« L'essai Audiogene continue de générer au fil du temps des enseignements précieux dans une population de patients très jeunes. Les signaux auditifs observés à six mois qui se maintiennent chez des enfants nés avec une surdité profonde, associés au profil de sécurité favorable et à la reproductibilité de la procédure chirurgicale avec notre système d'injection chez l'ensemble des patients et à travers les différents niveaux de dose, renforcent notre confiance dans le potentiel de la thérapie génique pour la perte auditive génétique », a déclaré **le Pr Natalie Loundon, Investigatrice principale de l'essai Audiogene**. « Ces résultats offrent un espoir aux familles touchées par la surdité liée à l'otoferline, et l'expertise clinique acquise grâce à Audiogene bénéficiera directement aux patients atteints d'autres formes monogéniques de perte auditive susceptibles de bénéficier d'approches similaires de thérapie génique à l'avenir. »

« Les données générées par Audiogene valident les composantes clés de notre plateforme de thérapie génique, de l'administration chirurgicale et de la sécurité tout au long de l'escalade de dose jusqu'à l'observation d'une relation dose-réponse », a commenté **Amit Munshi, Président du Conseil d'administration et Directeur Général par intérim de Sensorion**. « Ce socle croissant d'expérience clinique et procédurale, associé aux relations que nous avons établies avec des centres cliniques de référence, les agences réglementaires et nos partenaires, renforce notre confiance dans l'avancement du SENS-601, notre programme de thérapie génique ciblant la perte auditive liée au gène GJB2, qui a le potentiel d'être le premier administré chez l'homme. Le renforcement de notre situation financière à la suite du récent financement, ancré par l'investissement stratégique de Sanofi, positionne favorablement la Société pour mener à bien cette prochaine phase de croissance. Notre objectif est d'apporter des options thérapeutiques concrètes aux familles et aux patients qui, aujourd'hui, ne disposent d'aucun traitement pour la perte auditive génétique, et nous restons pleinement déterminés à poursuivre cette mission. »

Cette thérapie génique pour des patients souffrant de déficience en otoferline a été développée dans le cadre du RHU AUDINNOVE, un consortium composé de Sensorion avec l'Hôpital Necker Enfants Malades, l'Institut Pasteur et

la Fondation pour l'Audition. 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).

La Société prévoit de communiquer régulièrement sur l'avancement du programme GJB2-GT (SENS-601) à mesure qu'il progresse vers la phase clinique, et présentera des données précliniques de sécurité, de biodistribution et d'efficacité du SENS-601 dans un poster intitulé « Safety, biodistribution and efficacy of SENS-601, an AAV-based gene therapy treatment candidate for the autosomal recessive non-syndromic deafness 1A (DFNB1A) » lors du congrès annuel de l'American Society of Gene & Cell Therapy (ASGCT) en mai 2026 à Boston, États-Unis.

Les mutations du gène GJB2 représentent la première cause de surdité congénitale génétique, responsables d'environ 50 % des cas de perte auditive congénitale non syndromique à transmission autosomique récessive. Le programme SENS-601 de Sensorion, développé en collaboration avec l'Institut Pasteur, cible cet important besoin médical non satisfait avec une approche de thérapie génique basée sur un vecteur AAV.

Les études préparatoires à la soumission de la CTA progressent bien, et le programme reste en bonne voie pour une soumission de la CTA au S1 2026 et une soumission IND ciblée d'ici fin 2026. Grâce à une stratégie de CTA et IND en parallèle pour les voies réglementaires européennes et américaines, le SENS-601 est positionné pour être la première thérapie génique à entrer en développement clinique pour la perte auditive liée au gène GJB2.

### **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). 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 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 l'aptitude d'utilisation du système d'administration développé par Sensorion.

### **À propos de SENS-401**

SENS-401 (Arazasetron), le principal candidat-médicament de Sensorion au stade clinique, est une petite molécule disponible par voie orale qui vise à protéger et à préserver le tissu de l'oreille interne des dommages responsables de la déficience auditive progressive ou séquellaire. Sensorion a développé SENS-401 dans trois essais cliniques de Phase 2 : en premier lieu pour la prévention de l'ototoxicité induite par le cisplatine, ensuite, pour la prévention de la perte auditive résiduelle chez les patients devant subir une implantation cochléaire. Enfin, pour le traitement de la perte auditive neurosensorielle soudaine. SENS-401 a reçu la désignation de médicament orphelin de l'EMA en Europe pour le traitement de la perte auditive neurosensorielle soudaine, et de la FDA aux États-Unis pour la prévention de l'ototoxicité induite par le platine dans la population pédiatrique.

### **À propos de GJB2-GT (SENS-601)**

GJB2-GT (SENS-601) est un programme innovant de thérapie génique basé sur un vecteur AAV, développé en collaboration avec l'Institut Pasteur, pour traiter la perte auditive liée à des mutations du gène GJB2, qui joue un rôle essentiel dans le maintien de l'équilibre ionique nécessaire à la transduction sonore dans l'oreille interne. Les mutations du gène GJB2 représentent la première cause de surdité congénitale génétique, responsables d'environ 50 % des cas de perte auditive congénitale non syndromique à transmission autosomique récessive. Des

recherches récentes ont également établi que les mutations du gène GJB2 sont retrouvées dans des formes précoces de presbyacousie sévère chez l'adulte, qui semblent être monogéniques et potentiellement traitables par thérapie génique. Ainsi, le GJB2-GT a le potentiel de cibler trois pathologies distinctes : la surdité congénitale pédiatrique, les formes progressives de perte auditive chez l'enfant et les formes précoces de presbyacousie chez l'adulte.

En l'absence de thérapie génique approuvée actuellement disponible pour la perte auditive liée au gène GJB2, le SENS-601 a le potentiel d'être la première thérapie génique administrée chez l'homme ciblant les mutations du gène GJB2. Les études préparatoires à la soumission de la CTA progressent bien et le programme est en bonne voie pour une soumission de la CTA au S1 2026.

### **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). 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) et une étude clinique de preuve de concept de Phase 2 pour la préservation de l'audition dans l'ototoxicité induite par le cisplatine (CIO) en mars 2026.

**[www.sensorion.com](http://www.sensorion.com)**

Label: **SENSORION**

ISIN: **FR0012596468**

Mnemonic: **ALSEN**

### **Déclarations Prospectives**

Ce communiqué de presse contient certaines déclarations prospectives concernant Sensorion et ses activités. Ces déclarations prospectives sont fondées sur des hypothèses que Sensorion considère comme raisonnables.

Toutefois, rien ne garantit que ces déclarations prospectives se vérifieront, celles-ci étant soumises à de nombreux risques, notamment ceux exposés dans le rapport annuel 2025 publié le 18 mars 2026 et disponible sur notre site web, ainsi qu'à l'évolution de la conjoncture économique, des marchés financiers et des marchés sur lesquels Sensorion opère. Les déclarations prospectives contenues dans le présent communiqué de presse sont également soumises à des risques encore inconnus de Sensorion ou qui ne sont pas actuellement considérés comme importants par Sensorion. La survenance de tout ou partie de ces risques pourrait entraîner une différence significative entre les résultats, la situation financière, les performances ou les réalisations réels de Sensorion et ces déclarations prospectives. Le présent communiqué de presse et les informations qu'il contient ne constituent pas une offre de vente ou de souscription, ni une sollicitation d'offre d'achat ou de souscription d'actions Sensorion dans quelque pays que ce soit. La communication du présent communiqué de presse dans certains pays peut constituer une violation des lois et réglementations locales. Tout destinataire du présent communiqué de presse doit s'informer de ces restrictions locales et s'y conformer.

### **Relations Investisseurs**

Sensorion

Nicolas Bogler, Responsable des Relations Investisseurs et Communication

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

### **Relations Presse**

Maarc Communication

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

**[bruno.arabian@maarc.fr](mailto:bruno.arabian@maarc.fr)**

Source: Sensorion