

## Sensorion annonce des données précliniques préliminaires positives pour son programme de thérapie génique dans la déficience en Otoferline

- **Des études in vivo menées en toute sécurité chez des primates non humains montrent des données préliminaires prometteuses sur le tropisme tissulaire dans l'oreille interne et l'obtention d'un taux de transduction élevé**

**Montpellier, le 9 juin 2020 – Sensorion (FR0012596468 – ALSEN / éligible PEA-PME)** société biotechnologique pionnière au stade clinique dédiée au développement de thérapies innovantes pour restaurer, traiter et prévenir dans le domaine des pertes d'audition, annonce de nouvelles données préliminaires prometteuses chez des primates non humains, issues de son programme de thérapie génique ciblant le gène codant pour l'otoferline (OTOF).

Ces résultats concernent le premier des deux programmes précliniques menés dans le cadre d'un large partenariat de recherche avec l'Institut Pasteur (Paris). Le but de ce partenariat est de développer des thérapies géniques visant à corriger de manière efficace et sans danger des formes monogéniques de surdité héréditaire. Le premier programme vise spécifiquement la surdité due à une mutation du gène codant pour l'otoferline, une protéine largement exprimée dans les cellules sensorielles de la cochlée et jouant un rôle essentiel dans l'audition.

La protéine fluorescente verte (GFP) a été utilisée comme traceur intracellulaire pour évaluer le transfert et l'expression du gène. Le virus adéno-associé (AAV) sélectionné, un vecteur de thérapie génique sûr et efficace, a permis l'expression de la protéine GFP sous le contrôle du promoteur choisi. Une fluorescence vert intense due à la GFP a été mise en évidence par immunocoloration dans le tissu cochléaire de deux animaux sur les trois inclus dans l'étude, démontrant ainsi un tropisme adéquat pour l'oreille interne. Il est intéressant de noter que l'expression de la protéine verte GFP était surtout marquée dans les cellules ciliées internes, indiquant une transduction efficace au niveau des cellules cibles à des taux compatibles avec une future thérapie génique destinée à corriger le déficit en otoferline. Ces résultats devraient être publiés.

*« Un des défis de la thérapie génique est le transfert précis et sans danger du gène requis au niveau du tissu cible. Dans cette étude, l'intervention chirurgicale s'est déroulée sans difficulté chez les trois primates non humains. Aucune infection n'a été observée, ni avant ni après l'intervention, et la cicatrisation était parfaite. Par ailleurs, aucun effet secondaire lié à la procédure, tel qu'un vertige transitoire, n'a été constaté, »* observe Géraldine Honnet, Directrice Médicale de Sensorion.

*« Ces données confirment que le programme OTOF est très prometteur, et constitue une étape importante dans le développement de thérapies géniques pour traiter les formes monogéniques de surdité héréditaire. Notre collaboration avec une des institutions académiques à la pointe de la recherche dans le domaine de l'audition ainsi qu'avec l'un des meilleurs hôpitaux pédiatriques ORL au monde est clé. Celle-ci permet la création d'une plateforme et d'un écosystème solides fondamentaux pour le développement de thérapies géniques dans les pertes d'audition. Les données précliniques confirment le potentiel de ce partenariat pour la mise au point de traitements pouvant révolutionner la vie des patients atteints de maladies génétiques invalidantes de l'oreille interne, »* déclare Nawal Ouzren, Directrice Générale de Sensorion.

L'accord exclusif de Sensorion est conclu avec l'unité Génétique et Physiologie de l'audition de l'Institut Pasteur, dirigée par le Prof. Christine Petit, dont le laboratoire a acquis au cours des 25 dernières années une expertise mondialement reconnue sur la physiologie et la physiopathologie moléculaires de l'audition, et a généré des

## Communiqué de presse

données validant le développement de thérapies géniques potentielles. L'accord accorde à Sensorion le droit exclusif d'obtenir la licence pleine et entière des droits de propriété intellectuelle pour le développement et la commercialisation de produits de thérapie génique issus de projets collaboratifs pour la restauration, le traitement et la prévention de troubles auditifs. Le gouvernement français a accordé jusqu'à 9,7 millions d'euros au consortium AUDINNOVE, composé notamment de l'Hôpital Necker-Enfants malades, l'Institut Pasteur et Sensorion, pour soutenir le développement du programme OTOF jusqu'aux essais cliniques chez l'humain.

### 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 dans le domaine des pertes d'audition. Un produit est en développement clinique de phase 2, le SENS-401 (Arazasétron) dans la perte auditive neurosensorielle soudaine (SSNHL). Nous avons développé dans nos laboratoires une plateforme unique de R&D pour approfondir notre compréhension de la physiopathologie et de l'étiologie des maladies de l'oreille interne. Cette approche nous permet de sélectionner les meilleures cibles thérapeutiques et mécanismes d'action appropriés pour nos candidats médicaments. Nous travaillons également sur l'identification de biomarqueurs afin d'améliorer le diagnostic de ces maladies peu ou mal soignées. Sensorion a lancé au second semestre 2019 deux programmes précliniques de thérapie génique visant à corriger des formes monogéniques héréditaires de surdité parmi lesquelles le syndrome de Usher de type 1 et les surdités causées par une mutation du gène codant pour l'Otoferline. Notre plate-forme de R&D et notre portefeuille de candidats médicaments nous positionnent de manière unique pour améliorer de manière durable la qualité de vie des centaines de milliers de personnes souffrant de désordres de l'oreille interne, un besoin médical largement insatisfait dans le monde aujourd'hui.

[www.sensorion-pharma.com](http://www.sensorion-pharma.com)

### Contacts

#### Directrice Générale

Nawal Ouzren

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

+33 4 67 20 77 30

#### Communication financière

LifeSci Advisors - Sophie Baumont

[sophie@lifesciadvisors.com](mailto:sophie@lifesciadvisors.com)

+33 6 27 74 74 49

Label : **SENSORION**  
ISIN : **FR0012596468**  
Code mnémorique :  
**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 donnée quant à la réalisation des prévisions exprimées dans ces déclarations prospectives qui sont soumises à des risques, dont ceux décrits dans le Document de référence enregistré auprès de l'AMF sous le numéro R.17-062 du 7 septembre 2017, 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.