

THERANEXUS ET LA FONDATION BBDF FINALISENT LE RECRUTEMENT DE L'ÉTUDE DE PHASE I/II ÉVALUANT BATTEN-1 DANS LA MALADIE DE BATTEN

Lyon, France – Austin, Texas, Etats-Unis – 8 septembre 2022 – 18h00 CEST - Theranexus, société biopharmaceutique innovante dans le traitement des maladies neurologiques et pionnière dans le développement de candidats médicaments agissant sur l'interaction entre neurones et cellules gliales et la Fondation Beyond Batten Disease (BBDF), annoncent aujourd'hui avoir finalisé le recrutement du dernier patient de l'essai clinique de phase I/II évaluant la tolérance, la pharmacocinétique du candidat médicament Batten-1 dans la forme juvénile de la maladie de Batten (ou CLN3).

Au total, six patients, atteints de la forme juvénile de la maladie de Batten, âgés de 17 ans et plus, ont été inclus dans cet essai clinique de phase I/II. Le candidat médicament Batten-1, dont le principe actif est le miglustat, leur est administré avec un protocole d'escalade de doses. Les données précoces de tolérance et de pharmacocinétique du miglustat obtenues après les 9 premières semaines de traitement dans cette population serviront pour initier la phase III, et les patients de la phase I/II sont traités et évalués sur une durée de 24 mois au total.

Franck Mouthon, Président de Theranexus, déclare : « *L'achèvement du recrutement de notre étude de phase I/II est une étape importante dans le développement de Batten-1, un candidat-médicament qui vise à ralentir très fortement la progression de la forme juvénile de la maladie de Batten pour laquelle il n'existe aujourd'hui aucun traitement. Notre objectif, pour la suite du développement, est de lancer une étude pivot internationale de phase II/III en 2023.* »

Craig Benson, Président de la Fondation Beyond Batten Disease, ajoute : « *En tant que parents et représentants de patients atteints par la forme juvénile de la maladie de Batten et de leurs familles, nous nous réjouissons de l'inclusion du dernier patient dans l'étude de phase I/II. Ce nouveau traitement Batten-1 constitue un immense espoir pour nos enfants atteints de cette maladie.* »

L'étude de phase I/II est conduite par les centres de référence de la maladie de Batten aux États-Unis, avec pour investigateur principal, le Dr Gary Clark, Directeur du centre de neurologie pédiatrique du Texas Children's Hospital à Houston.

A propos de Batten-1

Batten-1 est une nouvelle spécialité pharmaceutique propriétaire et exclusive dont le principe actif est le miglustat. Le mécanisme d'action de cet actif permet de bloquer l'accumulation des glycosphingolipides et la neuro-inflammation, pour prévenir la mort des cellules du cerveau. Dans l'étude de Phase I/II, Batten-1 est administré sous une forme solide pour les patients âgés de plus de 17 ans, dans la Phase III, il sera formulé sous une forme liquide plus adaptée aux enfants.

A propos de la maladie de Batten

La forme juvénile de la maladie de Batten ou maladie de Spielmeyer-Vogt, ou encore maladie CLN3, est une maladie génétique du système nerveux, rare et mortelle, pour laquelle il n'existe aucun traitement. Elle appartient au groupe des céréoïdes-lipofuscinoses neuronales (CLN). Plus de 400 mutations dans 13 gènes ont pu être associées aux variantes de CLN, qui diffèrent essentiellement les unes des autres par l'âge d'apparition des premiers symptômes. Le premier symptôme de la forme juvénile, une perte progressive de la vision, apparaît entre les âges de 4 et 6 ans. Il est suivi par des changements de personnalité, des troubles comportementaux et des difficultés d'apprentissage. Des convulsions apparaissent dans les 2 à 4 ans suivant la survenance de la maladie. Progressivement, les patients déclinent physiquement et mentalement. À terme, ils se déplacent en fauteuil roulant voire restent alités avant de mourir prématurément. Des troubles psychiatriques ou psychotiques peuvent survenir à tout moment.

Cette maladie est toujours mortelle – généralement vers la fin de l’adolescence ou à l’entrée dans l’âge adulte. Aux Etats-Unis et en Europe, la prévalence de la maladie de Batten est la plus importante parmi les CLN, celles-ci affectant près de 3 000 patients¹ sur ces territoires. D’un point de vue physiopathologique, les interactions entre neurones et cellules gliales jouent un rôle clé dans l’apparition et la progression de toutes les CLN.

A propos de la Fondation Beyond Batten Disease (BBDF)

La Fondation Beyond Batten Disease (BBDF) est la plus importante des organisations à but non lucratif au monde dédiées au financement de la recherche pour traiter et guérir la maladie juvénile de Batten (CLN3). Depuis sa création en 2008, plus de 35 millions de dollars ont été investis dans la recherche grâce aux dons, au cofinancement et aux partenariats stratégiques. BBDF est le fer de lance d’une stratégie unique et cohérente, intégrant des ressources scientifiques indépendantes et une collaboration avec des organisations apparentées afin de mener des recherches sur la maladie juvénile de Batten. Les travaux sponsorisés par BBDF ont dans un premier temps permis d’élucider les mécanismes de la maladie². Aujourd’hui, un traitement est en vue. Une recherche financée par BBDF a permis de découvrir un médicament, Batten-1, qui ralentit la progression de la maladie dans les modèles de la maladie de Batten. Plus d’informations sur www.beyondbatten.org

A propos de Theranexus

Theranexus est une société biopharmaceutique innovante, issue du CEA et spécialisée dans le traitement des maladies neurologiques et pionnière dans le développement de candidats médicaments ciblant à la fois les neurones et les cellules gliales. La société dispose d’une plateforme unique d’identification de caractérisation de candidats médicaments de thérapie innovante dans le domaine des troubles neurologiques rares et d’un premier candidat médicament en développement et clinique dans la maladie de Batten.

Theranexus est cotée sur le marché Euronext Growth à Paris (FR0013286259- ALTHX).

Prochaine publication financière :

Mardi 27 septembre 2022: Résultats financiers du premier semestre 2022

Plus d’informations sur

<http://www.theranexus.com>

Cliquez et suivez-nous sur Twitter et LinkedIn



Contacts

Theranexus

Thierry LAMBERT

Directeur financier et administratif

contact@theranexus.com

NEWCAP

Théo MARTIN/Pierre LAURENT

Relations Investisseurs

+33 (0)1 44 71 94 97

theranexus@newcap.eu

FP2COM

Florence PORTEJOIE

Relations médias

+ 33 (0)6 07 76 82 83

fportejoie@fp2com.fr

¹ National Organization for Rare Disorders (NORD) / Orphanet

² Settembre et al, TFEB links autophagy to lysosomal biogenesis, Science 2011



Avertissement

Le présent communiqué contient des déclarations prospectives relatives Theranexus et à ses activités, y compris ses perspectives et le développement de ses produits. Theranexus estime que ces déclarations prospectives reposent sur des hypothèses raisonnables. Cependant, des déclarations prospectives ne constituent pas des garanties d'une performance future, étant donné qu'elles portent sur des événements futurs et dépendent de circonstances qui pourraient ou non se réaliser dans le futur, et de divers risques et incertitudes, dont ceux décrits dans le document d'enregistrement universel de la société déposé auprès de l'AMF le 28 avril 2021 sous le numéro D. 21-0379, dont une copie est disponible sur le site internet de la société (www.theranexus.com), et de l'évolution de la conjoncture économique, des marchés financiers et des marchés sur lesquels Theranexus est présent. Les déclarations prospectives figurant dans le présent communiqué sont également soumises à des risques inconnus de Theranexus ou que Theranexus 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 Theranexus diffèrent significativement des résultats, conditions financières, performances ou réalisations exprimés dans ces déclarations prospectives. Theranexus décline toute responsabilité quant à la mise à jour de ces déclarations prospectives.