

Résultats très prometteurs à 12 mois dans l'étude de phase 1/2 de Batten-1

Présentation lors du Congrès International de la maladie de Batten NCL2023

Lyon, France – Austin, Texas, Etats-Unis – 29 septembre 2023 – 7h30 – CET - Theranexus, société biopharmaceutique innovante dans le traitement des maladies neurologiques rares et la Fondation Beyond Batten Disease (BBDF), présentent les résultats intermédiaires très encourageants d'efficacité et de tolérance après 12 mois de traitement dans l'étude de phase 1/2 de Batten-1 dans la maladie de Batten (CLN3), lors du Congrès International « NCL2023 » sur les Lipofuscinoses Céroides Neuronales qui a lieu à Hambourg (Allemagne) du 26 au 30 septembre 2023.

Pour le Professeur Gary Clark, investigateur principal de l'étude et Directeur du centre de neurologie pédiatrique du Texas Children's Hospital à Houston « *Les résultats de la phase 1/2 de Batten-1 sont très prometteurs, car nous observons une diminution des neurofilaments et des glycosphingolipides, sans progression notable des symptômes moteurs après 12 mois de traitement sur nos 6 patients, âgés de 17 ans et plus. Cela est inédit dans l'indication, et Batten-1 représente ainsi un grand espoir pour les enfants atteints de cette maladie et pour leurs familles* ». **Le Professeur Gary Clark exposera les résultats intermédiaires d'efficacité et de tolérance à 12 mois, lors d'une session intitulée « Translational Research Clinical », le vendredi 29 septembre à 12h25 (CEST).**

Les résultats à 12 mois de traitement viennent renforcer ceux obtenus à 6 mois annoncés mi-juin 2023. **Ils montrent une diminution moyenne, dans le sérum des patients, de 32% après 12 mois de traitement (pour rappel, 17% après un traitement de 6 mois) des chaînes légères de neurofilaments (NfL), biomarqueur reconnu de la dégénérescence neuronale¹. Une diminution de 64% de ce biomarqueur est également observée dans le liquide céphalo-rachidien.** Il a été aussi constaté, après douze mois de traitement, une réduction des glycosphingolipides impliqués dans la pathologie (-45% sur Gb3) et dont l'accumulation est toxique dans les neurones, de manière cohérente avec les données précliniques. Sur le plan clinique, l'aggravation des symptômes moteurs après 12 mois, évaluée par la sous-échelle d'évaluation physique de l'UBDRS modifiée, a été nettement moins importante que ce qui est attendu dans cette maladie naturellement progressive.

Pour Mathieu Charvériat, Directeur général de Theranexus : « *Nous sommes très heureux de ces résultats à 12 mois qui confortent et complètent les premiers résultats à 6 mois. La réduction des taux de biomarqueurs confirment l'effet de Batten-1 sur la mort neuronale, et l'évolution clinique ne s'est pas aggravée. Ces résultats cohérents représentent une validation importante du mécanisme d'action, et témoignent d'un fort potentiel thérapeutique de Batten-1 dans la maladie de Batten (CLN3)* ».

Pour rappel, l'étude de phase 1/2, menée par Theranexus et la Fondation BBDF, pour évaluer leur candidat médicament Batten-1 inclus six patients atteints de la maladie de Batten (CLN3) âgés de 17 ans et plus. Ces derniers suivent le traitement sur une durée de 24 mois.

La présentation des résultats d'efficacité et de tolérance à 12 mois sera mise en ligne le 29 septembre après bourse.

Pour plus d'informations sur le Congrès NCL2023 : <https://ncl2023.de/>

¹ Dang Do AN, et al. Neurofilament light chain levels correlate with clinical measures in CLN3 disease. Genet Med. 2021 Apr;23(4):751-757

Prochaines publications :

Mise en ligne sur le site de la Société des slides décrivant plus en détail les résultats à 12 mois (<https://www.theranexus.com/fr/actionnaires/documents.html>) : 29 septembre 2023 après bourse

17 octobre 2023 : Point sur la trésorerie au 30 septembre 2023

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, et ainsi diminuer de manière significative la mort neuronale, à l'origine de la perte de fonction progressive des patients. Pour les patients âgés de plus de 17 ans dans l'étude de Phase 1/2, le produit est administré sous forme solide. Dans l'étude de Phase 3, il sera administré sous une forme liquide, plus adaptée à une population pédiatrique.

Design de l'étude Phase 1/2 : il s'agit d'une étude en ouvert chez 6 patients de plus de 17 ans atteints de maladie de Batten CLN3, traités par miglustat jusqu'à 600 mg/jour pour une durée de 2 ans. Le critère principal d'évaluation est la tolérance et la sécurité d'utilisation, évaluées par le recueil des effets indésirables, les tests biologiques et l'ECG, ainsi que la pharmacocinétique du miglustat. Les critères secondaires incluent des paramètres d'efficacité : des biomarqueurs (NfL et glycosphingolipides), la Unified Batten Disease Rating Scale, l'acuité visuelle, la mesure des volumes cérébraux par imagerie par résonance magnétique et la mesure de l'épaisseur de la couche neuronale de la rétine par tomographie par cohérence optique. L'administration en escalade de dose à un maximum de 600 mg/j de Batten-1 a été bien tolérée, sans effet indésirable grave ou ayant entraîné l'arrêt du traitement. Les effets indésirables les plus fréquemment rapportés sont d'ordre gastro-intestinal, réversibles et le plus souvent d'intensité légère à modérée, démontrant ainsi le bon profil de tolérance de Batten-1 dans cette population. Batten-1 continuera d'être évalué chez ces patients traités sur une durée de 24 mois au total. Des informations complémentaires sont disponibles sur <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT05174039>.

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 troubles cognitifs, des troubles comportementaux et des difficultés motrices. Des convulsions apparaissent dans les 2 à 4 ans suivant le début 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.

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 2 000 patients² 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 de découvrir les mécanismes de la maladie³.

² National Organization for Rare Disorders (NORD)/Orphanet

³ Settembre et al, TFEB links autophagy to lysosomal biogenesis, Science 2011

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 rares. 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).

Plus d'informations sur

<http://www.theranexus.com>

Cliquez et suivez-nous sur Twitter et

LinkedIn



Contacts

THERANEXUS

Thierry LAMBERT

Directeur administratif et financier

contact@theranexus.com

FP2COM

Florence PORTEJOIE

Relations médias

+ 33 (0)6 07 76 82 83

fportejoie@fp2com.fr

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 27 avril 2023 sous le numéro D.23-0345 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.