

Ce communiqué annule et remplace celui du 8 septembre 2026 à 18h, dans lequel une erreur matérielle s'était glissée – la désignation RPDD pour le produit historique BBDF-101 ne peut pas s'appliquer au candidat médicament Batten-1. Le nouveau communiqué corrigé est intégralement reproduit ci-dessous.

Rectificatif : THX Pharma et la Beyond Batten Disease Foundation annoncent la délivrance d'un brevet européen protégeant l'utilisation de Batten-1 dans la maladie de Batten juvénile (CLN3)

- Un brevet détenu conjointement par BBDF, le Baylor College of Medicine et Cardiff University, et exploité par THX Pharma sous licence exclusive et mondiale,
- Une protection en Europe jusqu'en juillet 2041, s'ajoutant au brevet de formulation propriétaire de THX Pharma et aux désignations de médicament orphelin obtenues en Europe et aux États-Unis.

Lyon, France – Austin, Texas, États-Unis – 9 septembre 2026, 8h30 CEST – THX Pharma (Theranexus), société biopharmaceutique innovante dans le traitement des maladies neurologiques rares, et la Beyond Batten Disease Foundation (BBDF) annoncent aujourd'hui la délivrance par l'Office européen des brevets (OEB) du brevet européen n° EP 4 188 371, intitulé « *Miglustat alone or in combination with trehalose for the treatment of a lysosomal storage disorder* », qui protège l'utilisation du miglustat, principe actif de Batten-1, dans le traitement de la forme juvénile de la maladie de Batten (CLN3).

Ce brevet est détenu conjointement par la Beyond Batten Disease Foundation, le Baylor College of Medicine (Houston, Texas) et Cardiff University (Royaume-Uni). Il protège les recherches financés par BBDF et conduites au sein des laboratoires du Dr Marco Sardiello (Baylor College of Medicine) et du Dr Emyr Lloyd-Evans (Cardiff University). Ces travaux ont démontré, dans des modèles cellulaires et animaux de la maladie CLN3, la capacité de Batten-1 à réduire l'accumulation lysosomale des glycosphingolipides, la neuro-inflammation et la mort neuronale.

Conformément à l'accord signé fin 2019 entre les deux partenaires, BBDF, qui détient les droits exclusifs d'exploitation de ce brevet, en a concédé à THX Pharma une licence exclusive et mondiale pour le développement et l'exploitation commerciale de Batten-1. Le brevet désigne 38 États contractants de la Convention sur le brevet européen, dont l'ensemble des États membres de l'Union européenne, le Royaume-Uni, la Suisse et la Norvège, et confère une protection jusqu'au 30 juillet 2041.

Une protection de l'exclusivité de Batten-1 reposant sur trois piliers complémentaires

La délivrance de ce brevet s'inscrit dans la stratégie mise en œuvre par THX Pharma et ses partenaires pour protéger durablement l'exclusivité de Batten-1, sur trois piliers indépendants et complémentaires :

1. **Un brevet d'usage thérapeutique.** Le brevet européen désormais délivré protège l'utilisation du miglustat dans le traitement de la maladie de Batten juvénile, indépendamment de la forme galénique utilisée.

2. **Un brevet de formulation propriétaire.** Batten-1 est également protégé par le portefeuille de brevets « *Palatable liquid solution containing high concentration of miglustat* », détenu en propre par THX Pharma. Développée par les équipes de THX Pharma, cette solution buvable de miglustat à forte concentration et au goût adapté aux jeunes enfants, est spécifiquement conçue pour une administration pédiatrique.
3. **Des désignations de médicament orphelin en Europe et aux États-Unis.** Le miglustat a obtenu la désignation de médicament orphelin dans la maladie de Batten juvénile auprès de la Food and Drug Administration (FDA) en août 2020 et de la Commission européenne, sur avis de l'Agence européenne des médicaments (EMA), en octobre 2020. Ces désignations ouvrent la voie, à l'obtention d'une autorisation de mise sur le marché, à une exclusivité commerciale de dix ans dans l'Union européenne et de sept ans aux États-Unis, indépendante de la protection conférée par les brevets.

Combinés, ces trois niveaux de protection sont conçus pour sécuriser la position de Batten-1 au-delà de 2040. Ils constituent un élément de valeur pour l'accord de licence mondial conclu avec Biocodex¹ en février 2026 pour le développement et la commercialisation de Batten-1, et interviennent alors que les demandes d'autorisation de l'essai clinique de phase 3 Batten-1-02 viennent d'être déposées auprès de la FDA, de la MHRA et, pour l'Union européenne².

Mathieu Charvériat, Président et Directeur Général de THX Pharma, déclare : « *La délivrance de ce brevet européen est une étape importante dans la renforcement de la propriété intellectuelle de Batten-1. Elle complète la protection de notre formulation liquide propriétaire ainsi que les désignations de médicament orphelin obtenues des deux côtés de l'Atlantique. Alors que nous venons de déposer les demandes d'autorisation de notre étude pivot de phase 3, cette protection renforcée conforte la valeur du programme pour nos partenaires et, à terme, notre capacité à garantir un accès durable au traitement pour les enfants atteints de cette maladie.* »

Craig Benson, Fondateur et Président du Conseil d'Administration de la Beyond Batten Disease Foundation, déclare : « *Ce brevet est le fruit de plus de dix ans de recherche financée par notre fondation aux côtés des équipes du Baylor College of Medicine et de Cardiff University. Il illustre la stratégie adoptée par BBDF dès le début : investir dans la science, sécuriser ses résultats et les confier à un partenaire industriel capable de les transformer en traitement. Sa délivrance en Europe protège cet investissement de long terme et favorise la poursuite du développement de cette innovation au bénéfice des familles touchées par la maladie de Batten.* »

À propos de THX Pharma (Theranexus)

THX Pharma (Theranexus, Euronext Growth : ALTHX) est une société biopharmaceutique spécialisée dans le développement de traitements innovants pour les maladies neurologiques rares. La société développe notamment TX01, une nouvelle formulation destinée au traitement de la maladie de Gaucher et de la maladie de Niemann-Pick de type C, ainsi que Batten-1, un candidat-médicament ciblant la forme juvénile de la maladie de Batten (CLN3). TX01 fait l'objet de plusieurs accords de licence avec des partenaires pharmaceutiques internationaux, Exeltis et Biocodex, pour son développement et sa commercialisation dans différentes régions du monde. Batten-1 fait l'objet d'un accord de licence mondial avec Biocodex pour son développement et son exploitation commerciale. THX Pharma dispose par ailleurs d'une plateforme innovante d'oligonucléotides antisens, codéveloppée avec des laboratoires de recherche de premier plan,

¹ https://thxpharma.actusnews.com/site/fr/infos_reglementes.html

² https://thxpharma.actusnews.com/site/fr/infos_reglementes.html



dédiée au développement de nouvelles approches thérapeutiques pour les maladies neurologiques rares. THX Pharma est cotée sur le marché Euronext Growth à Paris (ISIN : FR0013286259 – ALTHX).

Pour plus d'informations :

<http://www.thxpharma.com>

Suivez THX Pharma sur [LinkedIn](#)

À propos de la Beyond Batten Disease Foundation (BBDF)

La Beyond Batten Disease Foundation est une organisation à but non lucratif fondée à Austin, Texas, en 2008 par Craig et Charlotte Benson à la suite du diagnostic de la maladie de Batten juvénile (CLN3) de leur fille Christiane. Sous la direction de son Fondateur et Président du Conseil d'Administration, Craig Benson, BBDF a pour mission d'éradiquer la maladie de Batten juvénile en mobilisant la prise de conscience du grand public et les financements nécessaires pour accélérer le développement de traitements et la recherche d'un remède, et en fédérant les familles, les chercheurs et les partenaires industriels autour d'une stratégie scientifique coordonnée. Plus d'informations sur beyondbatten.org.

Contacts :

THX PHARMA

Christine PLACET

Directrice Administrative et Financière

contact@thxpharma.com

THX Pharma /Agence FP2COM

Florence PORTEJOIE

Relations médias

+ 33 (0)6 07 76 82 83

fportejoie@fp2com.fr

BEYOND BATTEN DISEASE FOUNDATION

Mary Beth Kiser

mbkiser@beyondbatten.org

Déclarations prospectives

Le présent communiqué contient des déclarations prospectives relatives à THX Pharma (Theranexus), à la Beyond Batten Disease Foundation et à leurs activités respectives, notamment concernant la portée, la validité, la validation nationale, le maintien en vigueur et l'opposabilité du brevet européen EP 4 188 371 et des autres droits de propriété intellectuelle relatifs à Batten-1, la durée effective de l'exclusivité de Batten-1, l'obtention et le maintien des exclusivités réglementaires attachées aux désignations de médicament orphelin, ainsi que le calendrier, la conduite et les résultats de l'essai clinique de phase 3 de Batten-1 et les perspectives du programme. THX Pharma et BBDF estiment que ces déclarations prospectives reposent sur des hypothèses raisonnables. Toutefois, les déclarations prospectives ne constituent pas des garanties de performances futures. Elles sont fondées sur des événements futurs et dépendent de circonstances susceptibles de se produire ou non, ainsi que de divers risques et incertitudes, notamment ceux décrits dans le document d'enregistrement universel déposé par la société auprès de l'Autorité des marchés financiers le 29 avril 2026 sous le numéro D.26-0321, disponible sur le site internet de la société, ainsi que de l'évolution de la conjoncture économique. La délivrance d'un brevet ne garantit ni sa validité en cas de contestation, ni l'absence de droits de tiers. Batten-1 est un candidat-médicament expérimental et n'a été approuvé par aucune autorité réglementaire. Ni THX Pharma ni BBDF ne s'engagent à mettre à



jour ou à réviser les déclarations prospectives contenues dans le présent communiqué, sauf si la législation ou la réglementation applicable l'exige.