

THERANEXUS ET LA FONDATION BEYOND BATTEN DISEASE ANNONCENT DES DONNÉES EN VIE RÉELLE TRÈS POSITIVES SOUTENANT L'EFFICACITÉ DE BATTEN-1 DANS LE TRAITEMENT DE LA MALADIE DE BATTEN CLN3

Lyon, France – Austin, Texas, États-Unis – 13 mai 2025 – 18h00 – Theranexus, société biopharmaceutique développant des candidats médicaments pour les maladies neurologiques rares, et la Fondation Beyond Batten Disease (BBDF), annoncent aujourd'hui de nouvelles données issues de la vie réelle venant conforter fortement l'efficacité de Batten-1 (miglustat) dans le traitement de la maladie CLN3, également appelée maladie de Batten juvénile.

L'analyse a porté sur l'évolution de l'acuité visuelle chez des patients atteints de CLN3 traités par Batten-1 (miglustat, n=11) comparativement à des patients non traités (n=22), à partir de données issues d'études d'histoire naturelle de la maladie, d'entretiens avec des familles, de publications scientifiques et de communications directes avec les prescripteurs. L'évaluation a concerné les patients présentant une acuité visuelle dont la valeur initiale était quantitativement mesurable (score d'acuité visuelle $\leq 1,9$ LogMAR) et disposant d'un suivi de l'évolution sous traitement sur 12 mois. Une méthode de scores de propension a été appliquée afin de garantir une comparaison appropriée entre les groupes traités et non traités.

Cette analyse a mis en évidence **une différence statistiquement significative et cliniquement pertinente en faveur de Batten-1, avec une préservation notable de l'acuité visuelle chez les patients traités par rapport aux patients non traités**. Ces résultats viennent s'ajouter aux données positives de l'étude de phase 1/2 de Batten-1¹ et soulignent le potentiel du miglustat à répondre à un besoin médical non couvert dans la maladie de Batten. Le critère d'évaluation utilisé dans cette analyse en vie réelle est identique à celui retenu pour l'essai pivot de phase 3 à venir, dont le design a été validé par la Food and Drug Administration² (FDA) américaine et l'Agence européenne des médicaments³ (EMA).

« Nous sommes profondément reconnaissants envers les patients, leurs familles et les professionnels de santé qui ont accepté de partager leurs données et leur expérience pour rendre possible cette analyse essentielle. Leur engagement a été déterminant pour démontrer le potentiel de Batten-1 à changer le cours de la maladie CLN3 », précise **Craig Benson, Président de la Beyond Batten Disease Foundation**.

« Obtenir une quasi-stabilisation de l'acuité visuelle sur 12 mois chez les patients CLN3 est remarquable et sans précédent. Dans cette population, une dégradation continue de la vision est attendue. Ces résultats offrent un réel espoir de modifier le cours naturel de la maladie », commente **le Dr Gary Clark, Chef du service de neurologie et de neurosciences du développement au Baylor College of Medicine, Houston, Texas**.

« Ces résultats ont été obtenus en utilisant le critère principal d'efficacité défini pour notre essai de phase 3, ce qui est particulièrement rassurant. Ils viennent fortement appuyer notre stratégie de développement et renforcer la pertinence de notre choix de critère d'évaluation pour démontrer l'efficacité potentielle de Batten-1 », conclut **Marie Seville, Directrice Médicale de Theranexus**.

Les résultats seront soumis pour présentation à la conférence NCL 2025, prévue en octobre en Australie.

¹ https://www.theranexus.com/images/pdf/Theranexus_CP_Resultats_18_mois_NfL_VDEF.pdf

² https://www.theranexus.com/images/pdf/Theranexus_CP_End_of_Phase_2_Meeting_VDEF.pdf

³ https://www.theranexus.com/images/pdf/Theranexus_CP_Avis_Positif_EMA_VDEF.pdf

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 18 mois. 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. De plus amples informations sur l'essai 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 céréïdes 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 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 de découvrir les mécanismes de la maladie.

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).

Pour plus d'informations :

<http://www.theranexus.com>

Suivez-nous sur X et LinkedIn



Contacts :

Theranexus

Christine PLACET

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 29 avril 2025 sous le numéro D.25-0350 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.