



## THERANEXUS ET LA FONDATION BBDF OBTIENNENT LE STATUT DE « MÉDICAMENT ORPHELIN (ODD) » ET LA DÉSIGNATION DE « MALADIE RARE PÉDIATRIQUE (RPDD) » PAR LA FOOD AND DRUG ADMINISTRATION (FDA) POUR BBDF-101 DANS LA MALADIE DE BATTEN

- *Le statut « Médicament Orphelin (ODD) » permet d'obtenir une protection supplémentaire de 7 ans à partir de l'enregistrement et une exemption des taxes d'enregistrement*
- *La désignation de « Maladie rare pédiatrique (RPDD) » donne droit au moment de l'enregistrement à un bon d'évaluation prioritaire (« priority review voucher »), cessible ou transférable, permettant d'accélérer l'enregistrement de n'importe quel candidat-médicament*

**Lyon, le 11 Août 2020** – Theranexus, société biopharmaceutique innovante dans le traitement des maladies neurologiques et la Fondation Beyond Batten Disease (BBDF), annoncent aujourd'hui la décision de la Food and Drug Administration (FDA) d'accorder le statut de « médicament orphelin (ODD)» et la désignation de « maladie rare pédiatrique (RPDD) » au candidat médicament BBDF-101 dans la maladie de Batten, une maladie génétique du système nerveux, rare et mortelle pour laquelle il n'existe aucun traitement.

Fin 2019, Theranexus et la Fondation BBDF ont signé un accord octroyant à Theranexus une licence exclusive et mondiale pour le développement et l'exploitation commerciale du candidat médicament BBDF-101 dans la forme juvénile de la maladie de Batten. La maladie de Batten appartient au groupe des céréoïdes-lipofuscinoses neuronales (CLN). BBDF a financé les travaux de recherche visant à identifier et à valider BBDF-101, une combinaison propriétaire s'appuyant sur un effet synergistique entre deux principes actifs tout comme les candidats-médicaments de Theranexus déjà en cours de développement clinique.

*« Nous nous réjouissons aujourd'hui d'avoir obtenu le statut de médicament orphelin pour BBDF-101 délivré par la FDA. C'est pour nous une reconnaissance de cette maladie orpheline et un espoir pour les enfants et adolescents qui souffrent de cette maladie. Je tiens à remercier vivement toute l'équipe de BBDF qui a participé à la soumission à la FDA, ainsi que nos donateurs, nos bénévoles et les familles partenaires de la fondation sans qui rien n'aurait été possible »,* explique **Craig Benson, Président du Conseil d'Administration de BBDF.**

*« Nous sommes très heureux d'avoir obtenu le statut de médicament orphelin et la désignation de maladie rare pédiatrique. Theranexus et BBDF viennent de franchir une nouvelle étape dans le développement du candidat médicament BBDF-101. Ces nouveaux statuts et désignations vont lui permettre d'avoir une procédure d'enregistrement accélérée, une protection au minimum de 7 ans à partir de son enregistrement, l'exemption des frais d'enregistrement, sans oublier l'obtention d'un bon d'évaluation prioritaire lors de l'enregistrement de BBDF-101, cessible ou transférable, permettant d'accélérer l'enregistrement de n'importe quel autre médicament »* poursuit **Franck Mouthon, Président Directeur Général de Theranexus.**

L'obtention légale du statut de « **médicament orphelin** » aux États-Unis a été définie par la loi du 4 juillet 1983, appelée Orphan Drug Act. Il permet à la société une revue accélérée de son candidat médicament - dans une indication dont la prévalence aux États-Unis est inférieure à 200 000 cas -, au moment de l'enregistrement, une

assistance dans le processus réglementaire par la FDA ainsi qu'une protection de 7 ans minimum à partir de l'enregistrement et l'exonération des frais d'enregistrement dus à la FDA.

La FDA définit comme « **maladie pédiatrique rare** » une maladie rare (moins de 200.000 cas aux Etats-Unis), grave ou mortelle touchant principalement des personnes âgées de moins de 18 ans. L'objectif du programme est de faciliter le développement de nouveaux médicaments et produits biologiques pour la prévention et le traitement des maladies pédiatriques rares. Lorsque la FDA accorde la désignation de maladie orpheline pédiatrique, le promoteur de l'étude obtient d'une part la revue accélérée de 6 mois pour l'enregistrement du candidat-médicament, et d'autre part un droit d'accès à un examen prioritaire (priority review voucher) pour un autre candidat-médicament quelque soit son indication qui peut être cessible à une autre société. Dans ce cas, la durée de revue d'enregistrement est considérablement réduite et se fait en 6 mois au lieu des 12 mois habituels, ce qui conduit à de très fortes valorisations de ce droit d'accès à un examen prioritaire.

Conformément aux échanges avec la FDA, la Société est en train de préparer le lancement d'une étude préclinique pour confirmer la sécurité de BBDF-101 sur une durée d'exposition longue afin de compléter les données disponibles pour permettre en 2021 le lancement du programme clinique.

## A PROPOS DE THERANEXUS

Fondée en 2013, THERANEXUS est une société biopharmaceutique au stade clinique, issue du CEA qui développe des candidats-médicaments pour le traitement des maladies du système nerveux. THERANEXUS a identifié le rôle majeur des cellules non neuronales (autrement appelées « cellules gliales ») dans la réponse aux médicaments psychotropes (ciblant les neurones). La société est pionnière dans la conception et le développement de candidats médicaments agissant sur l'interaction entre neurones et cellules gliales. La technologie unique et brevetée exploitée par THERANEXUS vise à accroître l'efficacité de médicaments psychotropes déjà approuvés et commercialisés en les combinant avec un modulateur de cellules gliales. Cette stratégie de combinaison de médicaments repositionnés lui permet de réduire significativement le temps et les coûts de développement et d'augmenter considérablement les chances d'accès au marché pour ses médicaments.

Propriétaire et déclinable, la plateforme de THERANEXUS permet de générer différents candidats médicaments propriétaires à forte valeur ajoutée dans plusieurs indications.

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

Plus d'informations sur : [www.theranexus.com](http://www.theranexus.com)



## Contacts

### THERANEXUS

Thierry LAMBERT

Directeur Administratif et Financier  
[investisseurs@theranexus.fr](mailto:investisseurs@theranexus.fr)

### ACTUS finance & communication

Thomas SEGOUIN

Relations Investisseurs  
+33 (0)1 53 67 36 75  
[theranexus@actus.fr](mailto:theranexus@actus.fr)

### FP2COM

Florence PORTEJOIE

Relations Médias  
+ 33 (0)6 07 76 82 83  
[fportejoie@fp2com.fr](mailto:fportejoie@fp2com.fr)