

## Theranexus et BBDF confirment les résultats positifs à 18 mois de Batten-1 dans l'étude de phase 1/2 sur les neurofilaments, un biomarqueur de la mort neuronale

**Lyon, France – Austin, Texas, Etats-Unis – 6 juin 2024, 7h30 – CET** - Theranexus, société biopharmaceutique innovante dans le traitement des maladies neurologiques rares, et la Fondation Beyond Batten Disease (BBDF), confirment les résultats positifs, après 18 mois de traitement, de son étude de phase 1/2 de Batten-1 dans la maladie de Batten (CLN3). Les résultats indiquent une diminution des chaînes légères de neurofilaments (NfL) sériques, un biomarqueur de la mort neuronale et confortent le potentiel thérapeutique du candidat médicament Batten-1 dans la forme juvénile de la maladie de Batten.

Les résultats du dosage des chaînes légères de neurofilaments (NfL), biomarqueur reconnu de la dégénérescence neuronale, après 18 mois de traitement, viennent conforter ceux obtenus à 12 mois, présentés en septembre 2023 au Congrès International « NCL2023 ». Ce biomarqueur, mesuré dans le sérum des patients ayant adhéré au protocole d'évaluation de Batten-1, a en effet diminué en moyenne de 33%, après 18 mois de traitement (pour rappel, 32% après 12 mois de traitement), par rapport à son niveau avant l'initiation du traitement.

**Pour le Professeur Gary Clark, investigateur principal de l'étude et Directeur du centre de neurologie pédiatrique du Texas Children's Hospital à Houston** « Ces résultats, collectés après 18 mois de traitement, sont concordants avec l'absence de progression notable des symptômes moteurs rapportée chez ces patients. Ils confirment l'intérêt majeur de Batten-1 dans le traitement de la maladie de Batten CLN3 et offrent une perspective de prise en charge inédite pour les enfants atteints de cette maladie, pour les familles et pour les soignants ».

**Pour Mathieu Charvériat, Président directeur général de Theranexus** « Après avoir annoncé fin avril des données finales positives d'efficacité et de sécurité de Batten-1, nous sommes très heureux de confirmer aujourd'hui ces résultats positifs par la diminution d'un biomarqueur reconnu de la dégénérescence neuronale. Ils confortent ceux obtenus à 6 mois puis à 12 mois et témoignent du fort potentiel thérapeutique de Batten-1 dans la maladie de Batten. Nous continuons d'évaluer toutes les options pour disposer des ressources nécessaires à la mise en place de notre phase 3 pivotale, en Europe et aux États-Unis ».

Par ailleurs, Theranexus en collaboration avec la Fondation BBDF, les investigateurs de l'étude clinique, a mis en place un programme d'accès compassionnel (Expanded Access Program – EAP) pour permettre aux 6 patients de l'étude de continuer à recevoir le traitement compte tenu de son rapport bénéfice-risque favorable.

Les résultats de l'étude seront présentés au prochain Congrès « Translational Research Conference for the Management of NCLs » qui aura lieu du 20 au 22 novembre 2024 à Chicago.

### 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 céréoides-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 patients<sup>1</sup> 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](http://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).

---

<sup>1</sup> National Organization for Rare Disorders (NORD)/Orphanet



## Contacts :

### **THERANEXUS**

**Christine PLACET**

Directeur Administratif et Financier

[contact@theranexus.com](mailto:contact@theranexus.com)

### **FP2COM**

**Florence PORTEJOIE**

Relations médias

+ 33 (0)6 07 76 82 83

[fportejoie@fp2com.fr](mailto: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 30 avril 2024 sous le numéro D.24-0382 dont une copie est disponible sur le site internet de la société ([www.theranexus.com](http://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.