

Theranexus et BBDF annoncent les données finales et positives de sécurité et d'efficacité de Batten-1 dans l'étude de phase 1/2

Stabilisation de la progression des symptômes moteurs chez les patients jeunes adultes souffrant de la forme juvénile de la maladie de Batten (CLN3) après 18 mois de traitement

Lyon, France – Austin, Texas, Etats-Unis – 18 Avril 2024 - 18h – CET - Theranexus, société biopharmaceutique innovante dans le traitement des maladies neurologiques rares et la Fondation Beyond Batten Disease (BBDF), annoncent aujourd'hui les données finales positives d'efficacité et de sécurité de Batten-1 dans l'étude de phase 1/2, dans la maladie de Batten (CLN3) après 18 mois de traitement.

Les résultats d'efficacité et de sécurité à 18 mois de traitement viennent confirmer ceux obtenus à 12 mois en septembre 2023, le traitement présentant un bon profil de sécurité. Chez les 6 jeunes patients adultes traités par Batten-1, la progression des symptômes moteurs évaluée par le score modifié d'évaluation motrice de l'échelle UBDRS a été considérablement ralentie en moyenne, apparaissant stable. Ainsi, la progression moyenne sur cette échelle par rapport à la valeur initiale était de +1,83 pour les six sujets traités pendant 18 mois contre +6,04 chez des patients non traités de l'étude d'histoire naturelle menée par l'Université de Rochester (n=46).

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 données recueillies après 18 mois de traitement par Batten-1 renforcent son potentiel très prometteur. Nous n'observons actuellement plus de progression notable des symptômes moteurs chez les 6 patients traités. Ces résultats confortent la perspective d'un bénéfice important de Batten-1 pour les enfants atteints de cette maladie très grave et pour leurs familles* ».

Pour Mathieu Charvériat, Directeur général de Theranexus : « *Ces résultats positifs d'efficacité et de sécurité de Batten-1 sont très encourageants pour les patients et leur famille. En collaboration avec BBDF et les investigateurs, nous mettons en place un programme d'accès compassionnel (Expanded Access Program – EAP) pour permettre aux 6 patients, ayant participé à l'étude, de continuer à recevoir le traitement compte tenu de son rapport bénéfice risque favorable. Ces résultats mettent en évidence le fort potentiel thérapeutique de Batten-1 sur l'évolution clinique de la maladie. Dans ce contexte, nous explorons différentes options de financement afin de disposer des ressources adéquates pour lancer un essai pivot de phase 3, dont la conception a déjà reçu les avis positifs de la Food and Drug Administration (FDA) et de l'European Medicines Agency (EMA)* ».

Pour rappel, l'étude de phase 1/2, menée par Theranexus et la Fondation BBDF, pour évaluer leur candidat médicament Batten-1 a inclus six patients âgés de 17 ans et plus atteints de la forme juvénile de la maladie de Batten (CLN3). Les patients ont été traités pendant 18 mois. A l'issue de leur participation à l'étude, tous les patients se voient proposer de continuer à recevoir le traitement dans le cadre d'un programme d'accès compassionnel.

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 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).

¹ National Organization for Rare Disorders (NORD)/Orphanet

Pour plus d'informations :

<http://www.theranexus.com>

Suivez-nous sur X 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.