

## Nouvelle avancée pour le Programme Batten-1 de Theranexus et de la fondation BBDF dans la forme juvénile de la maladie de Batten (CLN3)

**Lyon, France – Austin, Texas, Etats-Unis – 5 janvier 2023 – 18h00 CET** - Theranexus, société biopharmaceutique innovante dans le traitement des maladies neurologiques et pionnière dans le développement de candidats médicaments agissant sur l'interaction entre neurones et cellules gliales et la Fondation Beyond Batten Disease (BBDF), annoncent aujourd'hui les premiers résultats de leur essai clinique de phase 1/2 dans la forme juvénile de la maladie de Batten (ou CLN3).

Après 9 semaines de traitement à la dose maximale de 600 mg/j de Batten-1, les premiers résultats de l'étude de phase 1/2 portant sur six patients atteints de la forme juvénile de la maladie de Batten CLN3, âgés de 17 ans et plus, ont montré un bon profil de tolérance et de sécurité d'utilisation, ainsi qu'un profil de pharmacocinétique conforme aux attentes.

**Craig Benson, Président de la Fondation Beyond Batten Disease**, explique : « *Nous sommes très heureux que Batten-1 ait pu démontrer un bon profil de tolérance et de sécurité d'utilisation pour nos patients souffrant de la maladie de Batten. Ces résultats sont très encourageants et porteurs d'un immense espoir pour toutes les familles qui font face à cette maladie neurodégénérative pour laquelle il n'existe aucun traitement aujourd'hui* ».

**Pour conclure, Marie Sebillé, Directrice médicale chez Theranexus**, ajoute : « *Nous venons de franchir une étape importante avec ces résultats de phase 1/2 chez des patients CLN3, nous permettant de préparer le protocole de l'étude de Phase 3 pour lancer notre essai clinique pivot dans une population pédiatrique courant 2023* ».

Pour rappel, dans le cadre du 6<sup>ème</sup> Annual Neuroscience Innovation Forum de Sachs Associates, qui se déroulera le 8 janvier 2023 à San Francisco, Theranexus<sup>1</sup> présentera les dernières avancées du programme Batten-1 et participera également à une table ronde sur le thème « *Rare and orphan diseases new modalities panel* ». De plus, la société sera aussi présente au Biotech Showcase et participera, en parallèle, à la 41<sup>ème</sup> Conférence annuelle J.P. Morgan Healthcare Conference réunissant tous les acteurs clés de la santé.

### 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. 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 2 ans. 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 : la Unified Batten Disease Rating Scale, l'acuité visuelle, l'imagerie par résonance magnétique cérébrale et la 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. Batten-1 continuera d'être évalué chez ces patients traités sur une durée de 24 mois au total. Des informations complémentaires sont disponibles sur <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT05174039>.

<sup>1</sup> [https://www.theranexus.com/images/pdf/Theranexus\\_CP\\_Conference\\_JP\\_Morgan\\_FR.pdf](https://www.theranexus.com/images/pdf/Theranexus_CP_Conference_JP_Morgan_FR.pdf)

## 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 céroïdes-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 changements de personnalité, des troubles comportementaux et des difficultés d'apprentissage. 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. Des troubles psychiatriques ou psychotiques peuvent survenir à tout moment.

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 3 000 patients<sup>2</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 d'élucider les mécanismes de la maladie<sup>3</sup>. 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 et pionnière dans le développement de candidats médicaments ciblant à la fois les neurones et les cellules gliales. 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).

## Prochaine publication financière :

**18 janvier 2023 (avant bourse):** point sur la trésorerie au 31 décembre 2022

Plus d'informations sur

<http://www.theranexus.com>

Cliquez et suivez-nous sur Twitter et

LinkedIn



## Contacts

### THERANEXUS

Thierry LAMBERT

Directeur financier et administratif

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

### NEWCAP

Théo MARTIN/Pierre LAURENT

Relations Investisseurs

+33 (0)1 44 71 94 97

[theranexus@newcap.eu](mailto:theranexus@newcap.eu)

### FP2COM

Florence PORTEJOIE

Relations médias

+ 33 (0)6 07 76 82 83

[fportejoie@fp2com.fr](mailto:fportejoie@fp2com.fr)

<sup>2</sup> National Organization for Rare Disorders (NORD)/Orphanet

<sup>3</sup> Settembre et al, TFEB links autophagy to lysosomal biogenesis, Science 2011



#### **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 28 avril 2021 sous le numéro D. 21-0379, 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.