



## Theranexus et la Fondation Beyond Batten Disease (BBDF) obtiennent le statut d'Investigational New Drug (IND) aux États-Unis pour démarrer le développement clinique de BBDF 101

**Lyon, le 9 septembre 2021** – Theranexus, société biopharmaceutique innovante dans le traitement des maladies neurologiques et la Fondation Beyond Batten Disease (BBDF), annoncent aujourd'hui avoir obtenu le statut d'Investigational New Drug (IND) auprès de la Food and Drug Administration (FDA) pour lancer un essai clinique de phase I/II de leur candidat médicament BBDF 101 dans la forme juvénile de la maladie de Batten<sup>1</sup>, maladie rare et mortelle.

« Avec l'obtention du statut IND par la FDA pour BBDF 101, nous venons de franchir une étape clé dans le cadre du développement de ce candidat-médicament. L'IND va nous permettre de démarrer le développement clinique de BBDF101 dans la maladie de Batten, pour laquelle il n'existe aujourd'hui aucun traitement. Notre objectif est de pouvoir mettre à la disposition des patients souffrant de la maladie de Batten ce traitement le plus rapidement possible. » souligne **Franck Mouthon, Président de Theranexus**.

Fin 2019, Theranexus et la Fondation BBDF ont signé un accord de licence exclusive et mondiale pour le développement et l'exploitation commerciale du candidat médicament BBDF 101 dans la maladie de Batten par la société. BBDF 101 est un candidat-médicament associant le Tréhalose avec le Miglustat, deux principes actifs présentant chacun une activité propre d'intérêt dans la maladie.

Le programme clinique débutera d'ici fin 2021 par la phase I/II : recrutement d'une première cohorte de 6 adolescents/adultes qui recevront le médicament BBDF 101 en escalade de dose, avec l'établissement de la tolérance et de la pharmacocinétique du Tréhalose, du Miglustat et de la combinaison Tréhalose/Miglustat pendant 4,5 mois. Cette phase initiale sera suivie d'une période de 2 ans maximum pendant laquelle ces patients continueront de recevoir BBDF 101 et feront l'objet d'une évaluation de tolérance et d'efficacité et d'un suivi de sécurité.

La phase III commencera une fois les évaluations de pharmacocinétique et de tolérance obtenues en phase I/II et après consultation auprès de la FDA. Une cohorte pédiatrique de 30 patients sera recrutée à son tour dans l'étude, et fera l'objet de mesures régulières d'évaluation de la progression de la maladie. L'objectif sera de comparer la progression des différents symptômes chez ces patients, évaluée selon l'échelle UBDRS<sup>2</sup> (symptômes neurologiques, comportementaux, activités de la vie quotidienne, etc.), à l'évolution naturelle de la maladie préalablement documentée à partir de cohortes de patients déjà suivies, et ce sur une durée de deux ans. La phase III débutera en 2022.

Les principaux centres d'investigation de l'étude seront le Texas Children's Hospital (TCH) de Houston, le 4<sup>ème</sup> centre pédiatrique hospitalier le plus important aux États-Unis, le National Institute of Health (NICHD<sup>3</sup> – Bethesda, Maryland) et l'University of Rochester Batten Centre (URBC), New York. Ces institutions sont les principaux centres

<sup>1</sup> La maladie de Batten appartient au groupe des céréoïdes-lipofuscinoses neuronales (CLN).

<sup>2</sup> Unified Batten Disease Rating Scale

<sup>3</sup> National Institute of Child Health and Human Development (NICHD)

de référence pour la maladie de Batten aux États-Unis. L'URBC et le NIH ont déjà constitué les cohortes de patients touchés par la maladie de Batten permettant d'établir l'histoire naturelle de la maladie.

« Cette autorisation représente un immense espoir pour tous les patients - enfants, adolescents, adultes - souffrant de la maladie de Batten et leur famille qui sont aujourd'hui sans aucune solution médicale. Nous sommes extrêmement reconnaissants pour le soutien des familles touchées par la maladie de Batten et celui de la communauté de nos soignants et de nos soutiens qui nous ont permis d'atteindre cette étape cruciale, » **conclut Craig Benson, Président du Conseil d'Administration de BBDF.**

#### 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 changements de personnalité, des troubles comportementaux et des difficultés d'apprentissage. Des convulsions apparaissent dans les 2 à 4 ans suivant la survenance 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 États-Unis et en Europe, la prévalence de la maladie de Batten est la plus importante parmi les CLN, celle-ci affectant près de 3 000 patients<sup>4</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>5</sup>. Aujourd'hui, un traitement est en vue. Une recherche financée par BBDF a permis de découvrir un médicament 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)

### Prochaine publication financière :

**Jeudi 30 septembre 2021** : Résultats financiers du 1<sup>er</sup> semestre 2021

#### À 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.

Grâce à sa connaissance des interactions neuro-gliales, THERANEXUS est pionnière dans la conception et la combinaison de substances homologuées et dispose d'un portefeuille solide et diversifié d'actifs en phase clinique. Cette stratégie de combinaison de médicaments repositionnés reposant sur un solide cas commercial et disposant d'une réelle capacité à démontrer rapidement leur valeur clinique permet à la société de générer différents candidats médicaments propriétaires à forte valeur ajoutée, de réduire significativement le temps et les coûts de développement et d'augmenter considérablement les chances d'accès au marché pour ses médicaments.

A cette fin, THERANEXUS est positionnée dans plusieurs indications, dont la maladie de Parkinson et la maladie de Batten, pour lesquelles aucun traitement n'est actuellement disponible sur le marché.

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



<sup>4</sup> National Organization for Rare Disorders (NORD) / Orphanet

<sup>5</sup> Settembre et al, TFEB links autophagy to lysosomal biogenesis, Science 2011

Plus d'informations sur

<http://www.theranexus.com>

Cliquez et suivez-nous sur Twitter et LinkedIn



## Contacts

### **THERANEXUS**

**Thierry LAMBERT**

Directeur administratif et financier

[investisseurs@theranexus.fr](mailto:investisseurs@theranexus.fr)

### **ACTUS finance & communication**

**Guillaume LE FLOCH**

Relations investisseurs

+33 (0)1 53 67 36 70

[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)