

## THERANEXUS, LA FONDATION BBDF ET L'UNIVERSITÉ DE CARDIFF PRÉSENTENT LEURS NOUVEAUX TRAVAUX SUR BATTEN-1 ET LA MALADIE DE BATTEN LORS DU WORLDSYMPIOSIUM 2023

*Du 22 au 26 février 2023 à Orlando en Floride*

- **Présentation de données précliniques démontrant comment Batten-1 réduit drastiquement l'accumulation toxique de glycosphingolipides dans la maladie de Batten et d'un poster décrivant pour la première fois le fardeau associé à la maladie de Batten**

**Lyon, France – Austin, Texas, Etats-Unis – Cardiff, Royaume-Uni – 20 février 2023 – 18h00 CET** - Theranexus, société biopharmaceutique innovante dans le traitement des maladies neurologiques rares et pionnière dans le développement de candidats médicaments agissant sur l'interaction entre neurones et cellules gliales et ses partenaires, la Fondation Beyond Batten Disease (BBDF) et l'Université de Cardiff, annoncent aujourd'hui plusieurs communications lors du WORLDSymposium 2023, événement scientifique international dans le domaine des maladies lysosomales (22 au 26 février, à Orlando en Floride – Etats-Unis).

Les travaux menés par l'Université de Cardiff, Theranexus et la Fondation font l'objet au cours de cette conférence de cinq communications dont une présentation orale.

- Au cours d'une session orale intitulée « **The Batten disease associated protein CLN3 is required for the efflux of lysosomal potassium** », le Dr Hannah Best, de l'Université de Cardiff, présentera ses travaux de recherche sur la protéine CLN3 dans la maladie de Batten, le mercredi 22 février à 9h. Dr Hannah Best recevra le Prix du Jeune Chercheur « Young Investigator Award » pour ses travaux de premier rang.
- La session sera suivie par un poster présentant notre nouvelle stratégie thérapeutique, utilisant Batten-1 pour traiter la maladie de Batten par la réduction des glycosphingolipides toxiques dans les neurones (Poster 229, **Glycosphingolipid reduction with miglustat as a therapeutic strategy for CLN3 and other neuronal ceroid lipofuscinoses**, Dr Emyr Lloyd-Evans, Cardiff University).
- Une présentation plus large des effets du miglustat, principe actif de Batten-1 sera également dévoilée ce jour (Poster 230, **Deciphering the various mechanisms of action of miglustat in the lysosomal disorders**, Drs Emyr Lloyd-Evans et Charles Evans, Cardiff University).
- Enfin une nouvelle série de travaux sera présentée avec, pour la première fois, le fardeau de la maladie vu par les patients et leurs familles (Poster 185, **Understanding the functional burden of CLN3 through the eyes of patients and families**, Skyler Jackson, Engage Health, BBDF, Theranexus).

**Mathieu Charvériat, directeur général de Theranexus**, explique : « *Ces différentes communications, d'équipes internationalement reconnues, confirment le fort rationnel scientifique et clinique soutenant le développement de notre actif Batten-1 dans la forme juvénile de la maladie de Batten, pour laquelle il existe de forts besoins médicaux non pourvus constituant un fardeau considérable pour les familles. Batten-1 est, à notre connaissance, le seul candidat en développement clinique actif capable de répondre aux forts enjeux médicaux de cette maladie. Dans ce cadre, nous préparons actuellement l'étude de phase 3 qui doit démarrer courant 2023* ».

**Pour le Docteur Emyr Lloyd-Evans de l'Université de Cardiff, expert des indications lysosomales** : « *Nous sommes très heureux de présenter à nos pairs nos travaux innovants sur CLN3 et le miglustat, qui constituent un rationnel fort d'utilisation de Batten-1 dans la forme juvénile de la maladie de Batten. En effet, dans cette maladie, comme dans les deux autres indications proches dans lesquelles le miglustat est enregistré et efficace chez le patient, ce médicament bloque l'accumulation toxique des glycosphingolipides. Nos données scientifiques et la connaissance forte du miglustat convergent donc vers une potentielle efficacité du candidat dans la maladie de Batten et nous attendons son évaluation dans le cadre de la phase 3 menée par Theranexus et BBDF.* »

« Nous présentons les premiers travaux quantifiant le fardeau lourd subi par les patients, les familles et les aidants, qui justifient le besoin absolu de développer de nouvelles approches thérapeutiques. Ils soulignent également, comme nous le notons régulièrement dans nos interactions avec les familles de patients et les associations des autres pays, le souhait des familles de participer à des développements cliniques comme ceux que nous portons avec Theranexus », conclut Craig Benson, Président de la Fondation Beyond Batten Disease.

## 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>.

## 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>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 d'élucider les mécanismes de la maladie<sup>2</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).

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

<sup>2</sup> Settembre et al, TFEB links autophagy to lysosomal biogenesis, Science 2011

## 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).

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)

## 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 29 avril 2022 sous le numéro D. 22-0399, 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.