

## Theranexus fait le point sur son programme Batten-1 dans la maladie de Batten CLN3

- Présentation des résultats prometteurs de l'essai de phase I/II de Batten-1 par la fondation BBDF et Theranexus lors du Child Neurology Society Annual Meeting à San Diego,
- Des signaux positifs sur l'acuité visuelle chez des patients plus jeunes atteints de CLN3 dans le cadre d'un usage compassionnel

**Lyon, France – Austin, Texas, États-Unis – 19 novembre 2024** – 18h00 CET – Theranexus, entreprise biopharmaceutique innovante dans le traitement des maladies rares, et la fondation Beyond Batten (BBDF) ont présenté les résultats finaux et positifs de l'essai de phase I/II évaluant Batten-1 chez six jeunes adultes atteints de la maladie de Batten CLN3, après 18 mois de traitement, lors du Congrès annuel de la Société de Neurologie Pédiatrique qui s'est tenu du 11 au 14 novembre à San Diego, aux États-Unis.

Cette présentation a souligné le profil de sécurité solide du miglustat chez les patients atteints de CLN3 et a mis en exergue les données d'efficacité positives recueillies pendant cet essai. Les résultats démontrent une activation claire de la cible, un effet biologique et suggèrent une stabilisation de la progression de la maladie au cours de la période de traitement. Tous les participants de l'essai ont choisi de continuer à recevoir le miglustat via le programme d'accès précoce de la fondation BBDF. Après deux années de traitement continu, aucun problème de tolérance n'a été signalé.

De plus, les rapports de cas issus de l'usage compassionnel du miglustat dans la maladie de Batten CLN3 renforcent son potentiel en tant que traitement modificateur de la maladie. Ils suggèrent une possible stabilisation de l'acuité visuelle, une fonction gravement impactée dans la maladie de Batten CLN3 et souvent associée à une cécité légale avant l'âge de 12 ans. Ces informations sont encourageantes, notamment dans le cadre des discussions entre Theranexus, BBDF, la Food and Drug Administration (FDA) et l'Agence Européenne du Médicament (EMA) pour la prise en compte de l'acuité visuelle comme critère principal pour le prochain essai de phase III, en vue de l'enregistrement du médicament aux États-Unis et en Europe.

Les cliniciens ayant traité ces patients ainsi que d'autres patients plus jeunes avec le miglustat se montrent enthousiastes face à ces données prometteuses. **Pour le Professeur Gary Clark, investigateur principal de l'essai et chef du service de neurologie pédiatrique au Texas Children's Hospital à Houston** : « Ces rapports de cas sur l'acuité visuelle, en complément d'autres observations positives personnelles sur l'expérience visuelle chez des patients plus jeunes, complètent les résultats de notre essai de phase I/II qui soutiennent le bénéfice prospectif de Batten-1 dans le traitement de la maladie de Batten CLN3. Après confirmation dans un essai plus large, ces résultats avec Batten-1 représenteront une avancée majeure dans la prise en charge de cette maladie. »

**Mathieu Charvériat, président-directeur général de Theranexus, conclut** : « Notre étude de phase I/II positive, ainsi que des rapports de cas additionnels très prometteurs d'usage compassionnel du miglustat avec des résultats positifs sur la vision, renforcent vivement le lancement de notre phase III ainsi que la sélection de l'acuité visuelle comme critère principal. Comme indiqué précédemment, nous explorons des options pour obtenir les ressources nécessaires à cet essai pivot de phase III, notamment par la future commercialisation de notre formulation liquide dans la maladie de Niemann-Pick de type C, comme récemment annoncé. »

### 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 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

Christine PLACET

Directrice Administrative et Financière

[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.