

Theranexus et « Beyond Batten Disease Foundation » (BBDF) annonce un accord de principe pour le développement et la commercialisation du candidat médicament BBDF 101 dans la maladie de Batten

- BBDF a financé les travaux de recherche visant à identifier et à valider BBDF 101 pour le traitement de la forme juvénile de la maladie de Batten
- Theranexus et BBDF porteront conjointement le développement clinique du produit aux États-Unis dans une étude devant permettre son enregistrement
- Theranexus disposera d'une licence exclusive mondiale pour l'exploitation commerciale du produit

Écrit par Theranexus

Mardi, 02 Juillet 2019 19:44 - Mis à jour Mardi, 02 Juillet 2019 19:56

Lyon, 27 juin 2019 - 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,

annonce

la signature d

un

accord

de principe

(term sheet)

avec

association

Beyond Batten Disease

Foundation

(BBDF)

afin

de conduire

le

programme de

développement

clinique

devant permettre l

enregistrement

et la commercialisation

du

candidat

médicament

B

B

DF

101

dans la maladie de Batten

Cet accord prévoit notamment

une période d

Écrit par Theranexus

Mardi, 02 Juillet 2019 19:44 - Mis à jour Mardi, 02 Juillet 2019 19:56

exclusivité de six mois
accordée
à Theranexus pour la conclusion d
,
un accord définitif.

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 céroïde
s
-lipofuscinoses neuronales (CLN)
. Plus de
400
mutations dans
13
gènes ont pu être associées aux variantes de CLN

,
qui
diffèrent
essent
i
ellement 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,

appara
î
t entre les âges de 4 et 6 ans

. Il est
suivi
par
de
s
changements de
personnalité, de
s
troubles comportementaux et de
s
difficultés d

Écrit par Theranexus

Mardi, 02 Juillet 2019 19:44 - Mis à jour Mardi, 02 Juillet 2019 19:56

,
apprentissage. Des
convulsions
apparaissent
dans les
2 à
4
ans
suivant la surven
ance
de la maladie.

Progressivement
, les patients
déclinent
physiquement et mentalement.

À
terme

,
ils
se déplacent en fauteuil roulant
voire restent a

lit
és
avant de
m

o
ur
ir
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

, l
a prévalence de la maladie de Batten est la plus importante parmi les CLN, celles-ci
affectant près de

Écrit par Theranexus

Mardi, 02 Juillet 2019 19:44 - Mis à jour Mardi, 02 Juillet 2019 19:56

3
000
patients

[\[1\]](#)
sur ce
s
territoire
s

.

un point de vue physiopathologique, les interactions entre neurone

s
et cellules gliales
jouent un rôle clé dans l

,

apparition et la progression
de toutes les CLN

.

BBDF a financé et dirigé depuis plusieurs années des travaux de recherche préclinique ayant permis d

,

identifier et

de
valider
BBDF

101. Tout comme les différent

s
candidats-médicament

s
développés par Theranexus,
BBDF

101 est une combinaison
propriétaire
de médicaments s

,

appuyant sur un effet synergistique entre deux composés déjà enregistrés.
Au-delà de cette combinaison,

|
,

accord prévoit également que
Theranexus
mette à profit

Écrit par Theranexus

Mardi, 02 Juillet 2019 19:44 - Mis à jour Mardi, 02 Juillet 2019 19:56

son expertise pharmacologi
que
de
s
interactions
neurone-gli
e
pour poursuivre les recherches sur
la
forme juvénile de la
maladie de Batten
et être
ainsi
en capacité d
,
identifier l
es
prochaine
s
génération
s
de traitements
pour les patients
.

« La forte expertise translationnelle de Theranexus dans les maladies du système nerveux
central , notamment le
s in
te
ractions neurone-glie
contribuant à la physiopathologie de la maladie
,
nous
a
convaincu
s
de
choisir Theranexus comme partenaire
pour la suite du développement de
BBDF
101. Au-delà de ce développement, nous sommes
,
par ailleurs
,

Écrit par Theranexus

Mardi, 02 Juillet 2019 19:44 - Mis à jour Mardi, 02 Juillet 2019 19:56

enthousiastes à l

,

idée que Theranexus

puisse

s

,

engage

r

à nos côtés dans la recherche sur

la maladie de Batten

»

,

commente

le Dr

Danielle Kerkovich, Directrice Scientifique de BBDF.

L'ensemble des travaux menés permet aujourd'hui à BBDF de solliciter le statut de médicament expérimental ou Investigational New Drug (IND)

pour

BBDF

101

auprès de

l

,

agence américaine du médicament

-

la

FDA

-

, ce

statut

autoris

ant

la réalisation d

,

essais cliniques aux Etats-Unis

.

L'essai aujourd'hui discuté avec la FDA comprendra un volet d'évaluations de sécurité et pharmacocinétique

s

et un volet d

Écrit par Theranexus

Mardi, 02 Juillet 2019 19:44 - Mis à jour Mardi, 02 Juillet 2019 19:56

e mesure de l

,

efficacité en ouvert

contre

l

,

histoire natu

r

elle de la maladie

, c

ette dernière étant établie à partir de

cohortes de patients suivis par

le centre hospitalo-universitaire

allemand

de Hambourg-Eppendorf,

l

,

University of Rochester Batten

C

entre

et le

National Institute of Health

(NIH)

aux

É

tats-Unis

. Le Texas Children

,

s

Hospital

(TCH)

, 4

ème

plus grand centre

pédiatrique

hospitalier aux Etats-Unis, implanté à Houston,

sera le centre d

,

investigation principal

de

l

,

essai

, et le

Dr

Gary

Écrit par Theranexus

Mardi, 02 Juillet 2019 19:44 - Mis à jour Mardi, 02 Juillet 2019 19:56

Clark

,
D
irecteur de l

,
unité de neurologie pédiatrique et leader d

,
opinion
incontournable
dans le domaine de
s CLN

,
en
sera l

,
investigateur principal.

« Je suis très heureux de pouvoir démarrer prochainement le développement clinique de BBDF
F 101

aux côtés de BBDF et de Theranexus. Les travaux
menés par
mes confrères du

Jan and Dan Duncan Neurological Research Institute au TCH, qui fait également partie du
Baylor College of Medicine,
ont déjà démontré

le potentiel de BBDF
101 dans la
forme juvénile de la
maladie de Batten

.
L
a démonstration d

,
efficacité que nous allons conduire chez le patient représente l

,
étape ultime avant de pouvoir mettre

c
e médicament à la disposition de l

,
ensemble des malades, qui ne disposent actuellement d

,
aucune solution thérapeutique

»

Écrit par Theranexus

Mardi, 02 Juillet 2019 19:44 - Mis à jour Mardi, 02 Juillet 2019 19:56

, commente Gary Clark,

D

irecteur de la neurologie pédiatrique du Texas Children

,

s Hos

p

ital.

Le succès de cet essai devrait permettre au produit d'obtenir directement son enregistrement auprès de la FDA

ainsi que de bénéficier de l

,

ensemble des dispositions réglementaires incitatives d

,

enregistrement de médicament

s

dans une indication orpheline pédiatrique

sévère

.

Après

|

,

enregistrement

,

Theranexus portera la commercialisation du produit

, et la fondation

sera

intéressée à la création de valeur

supplémentaire

sous forme de

m

ilestones et de

redevances

sur les ventes futures

.

« En tant que parent et représentant de tous les patients et familles que nous accompagnons,

et qui ne disposent actuellement d

'aucun traitement co

ntre

cette terrible maladie, cet accord nous permet d

,

accélérer

Écrit par Theranexus

Mardi, 02 Juillet 2019 19:44 - Mis à jour Mardi, 02 Juillet 2019 19:56

le développement

et d

,

accéder aux moyens et à l

,

expertise de Theranexus afin d

,

amener

en clinique

BBDF

101

.

Il s

,

agit d

,

un partenariat important et d

,

un pas de plus vers la mise à disposition d

,

un traitement pour tous nos enfants

»

,

déclare Craig Benson,

P

résident de BBDF et parent d

,

une jeune patiente atteinte de

la

maladie de Batten.

« Nous nous réjouissons d'initier ce partenariat avec la fondation BBDF et nous les remercions de leur confiance. La

qualité des

travaux précliniques

qu

,

ils ont

menés sur

BBDF

101

avec le

Jan and Dan Duncan Neurological Research Institute du

Texas Children

Écrit par Theranexus

Mardi, 02 Juillet 2019 19:44 - Mis à jour Mardi, 02 Juillet 2019 19:56

,
s Hospital et
Evotec Worldwide
ainsi que
leur collaboration avec
le
Clinical C
are
C
entre du
NIH pour
|
,

essai
clinique

,
témoignent du
profession
n
alisme
de leur approche et du
potentiel d
e
ce
candidat-médicament.

Nous sommes très fiers que
Theranexus
puisse apporter
sa contribution au développement d

,
un traitement dans cette maladie pédiatrique
mortelle

.
Ce
nouvel actif
constitue
également
une
excellente opportunité de renforcer
le potentiel
de création de valeur
de
la société

.
En effet,
la combinaison

Écrit par Theranexus

Mardi, 02 Juillet 2019 19:44 - Mis à jour Mardi, 02 Juillet 2019 19:56

BBDF

101

, par sa cohérence et sa complémentarité

vis-à-vis de

nos développements en cours, vient

idéalement

enrichir

notre portefeuille de candidats

-

médicaments en clinique

, notamment

sur le marché

américain

.

Ce partenariat

nous offre

aussi

|

,

opportunité

d

,

étendre notre approche axée sur les interactions neurone-glie
aux maladies lysosomale

s

.

»,

précise Franck Mouthon, Président de Theranexus.

Pour plus d'informations sur Theranexus :

https://www.theranexus.com/images/pdf/Presentation_investisseurs_062019.pdf

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 dédiée

s

au financement de la recherche pour
traiter et guérir la

Écrit par Theranexus

Mardi, 02 Juillet 2019 19:44 - Mis à jour Mardi, 02 Juillet 2019 19:56

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.

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

.

BBDF va maintenant déposer une demande d

,

autorisation auprès la FDA pour débiter l

,

essai clinique. Plus

d

,

informations

sur

www.beyondbatten.org