

**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  
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

é  
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](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](http://www.beyondbatten.org)