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

- 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 É tats-Unis dans une étude devant permettre son enregistrement

- Theranexus disposera d'une licence exclusive mondiale pour l'exploitation commerciale d u produit

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
l
'
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
'

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

'
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

3
000
patients
[1]
sur ce
s
territoire
s
.
D
'
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,
l
'
accord prévoit également que
Theranexus
mette à profit

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
,

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

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

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 BBD
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 démontr
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
»

, 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
l
'
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

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

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

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
l
'
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

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 débuter l
'
essai clinique. Plus
d
'
informations
sur
www.beyondbatten.org