Lyon, le 21 octobre 2020 - Theranexus, société biopharmaceutique innovante dans le traitement des maladies neurologiques et la Fondation Beyond Batten Disease (BBDF), annoncent aujourd'hui la décision de la Commission Européenne d'accorder le statut de «médicament orphelin» à chaque principe actif, le tréhalose et le miglustat, composant le candidat médicament BBDF-101 dans la maladie de Batten, une maladie génétique rare et fatale affectant le métabolisme du système nerveux central pour laquelle il n'existe aucun traitement.

Dans le cadre de l'accord qui lie Theranexus à la Fondation BBDF, Theranexus possède une licence exclusive et mondiale pour le développement et l'exploitation commerciale du candidat médicament BBDF-101 dans la forme juvénile de la maladie de Batten. Son candidat médicament BBDF-101 est une combinaison propriétaire associant le tréhalose avec le miglustat, deux principes actifs présentant chacun une activité distincte et synergique pour rétablir une bonne activité métabolique des cellules cérébrales.

«*Après avoir obtenu en Août dernier, le statut de médicament orphelin auprès de la FDA, nous sommes ravis d'obtenir également ce statut pour l'Europe. Nous avons lancé durant l'été les travaux précliniques pour confirmer la sécurité de BBDF-101 sur une durée d'exposition longue afin de permettre le lancement du programme clinique en 2021*
» poursuit
Franck Mouthon, Président Directeur Général de Theranexus.

Pour rappel, les médicaments «orphelins» sont destinés au diagnostic, à la prévention ou au traitement de maladies rares, très graves ou entraînant une menace pour la vie et dont la prévalence ne dépasse pas 5 cas sur 10 000 dans l'Union Européenne. Ce statut confère à Theranexus une exclusivité commerciale de 10 ans dans la Communauté Européenne consécutivement à l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché.ÂÂ La société pourra aussi bénéficier des conseils scientifiques de l'Agence Européenne des Médicaments (EMA) afin de répondre aux exigences réglementaires européennes avec un accès direct à la procédure centralisée d'autorisation de mise sur le marché. Par ailleurs, la société sera aussi exonerée de redevances relatives à la soumission du dossier de demande d'autorisation de mise sur le marché.