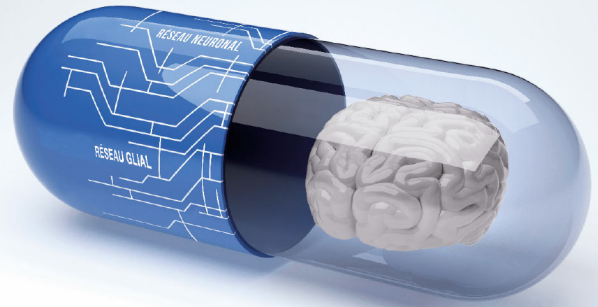




Theranexus

LABORATOIRE EN 1^{ÈRE} LIGNE
CONTRE LES MALADIES
NEUROLOGIQUES



Theranexus et « Beyond Batten Disease Foundation » (BBDF) annoncent 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**

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 BBDF 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 céréoïdes-lipofuscinoses neuronales (CLN). Plus de 400 mutations dans 13 gènes ont pu être associées aux variantes de CLN, qui diffèrent essentiellement 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, apparaît entre les âges de 4 et 6 ans. Il est suivi par des changements de personnalité, des troubles comportementaux et des difficultés d'apprentissage. Des convulsions apparaissent dans les 2 à 4 ans suivant la survenance de la maladie. Progressivement, les patients déclinent physiquement et mentalement. À terme, ils se déplacent en fauteuil roulant voire restent alités avant de mourir 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 États-Unis et en Europe, la prévalence de la maladie de Batten est la plus importante parmi les CLN, celles-ci affectant près de 3 000 patients¹ sur ces territoires. D'un point de vue physiopathologique, les interactions entre neurones 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 différents candidats-médicaments 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 pharmacologique des interactions neurone-glie pour poursuivre les recherches sur la forme juvénile de la maladie de Batten et être ainsi en capacité d'identifier les prochaines générations de traitements pour les patients.

¹ National Organization for Rare Disorders (NORD) / Orphanet

« La forte expertise translationnelle de Theranexus dans les maladies du système nerveux central, notamment les interactions neurone-glie contribuant à la physiopathologie de la maladie, nous a convaincus 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'engager 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 autorisant la réalisation d'essais cliniques aux Etats-Unis.

L'essai aujourd'hui discuté avec la FDA comprendra un volet d'évaluations de sécurité et pharmacocinétiques et un volet de mesure de l'efficacité en ouvert contre l'histoire naturelle de la maladie, cette dernière étant établie à partir de cohortes de patients suivis par le centre hospitalo-universitaire allemand de Hambourg-Eppendorf, l'University of Rochester Batten Centre et le National Institute of Health (NIH) aux États-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, Directeur de l'unité de neurologie pédiatrique et leader d'opinion incontournable dans le domaine des CLN, en sera l'investigateur principal.

« Je suis très heureux de pouvoir démarrer prochainement le développement clinique de BBDF 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. La démonstration d'efficacité que nous allons conduire chez le patient représente l'étape ultime avant de pouvoir mettre ce médicament à la disposition de l'ensemble des malades, qui ne disposent actuellement d'aucune solution thérapeutique », commente Gary Clark, Directeur de la neurologie pédiatrique du Texas Children's Hospital.

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 médicaments 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 milestones 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 contre 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, Président 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 Care Centre du NIH pour l'essai clinique, témoignent du professionnalisme de leur approche et du potentiel de 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 lysosomales.», 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 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. 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

A PROPOS DE THERANEXUS

Fondée en 2013, THERANEXUS est une société biopharmaceutique au stade clinique issue du CEA, qui développe des candidats-médicaments pour le traitement des maladies du système nerveux. THERANEXUS a identifié le rôle majeur des cellules non neuronales (autrement appelées « cellules gliales ») dans la réponse aux médicaments psychotropes (ciblant les neurones). La société est pionnière dans la conception et le développement de candidats-médicaments agissant sur l'interaction entre neurone et cellules gliales. Theranexus possède 3 programmes en cours de développement clinique : THN 102, en essai clinique de phase 2, pour lutter contre les troubles de la somnolence diurne dans la maladie de Parkinson, THN201 en phase 1b, pour le traitement des troubles cognitifs chez Alzheimer, et THN 101, en étude de phase 1a chez les patients atteints de douleurs neurologiques. La technologie unique et brevetée exploitée par THERANEXUS vise à accroître l'efficacité de médicaments psychotropes déjà approuvés et commercialisés en les combinant avec un modulateur de cellules gliales. Cette stratégie de combinaison de médicaments repositionnés lui permet de réduire significativement le temps et les coûts de développement et d'augmenter considérablement les chances d'accès au marché pour ses médicaments.

Propriétaire et déclinable, la plateforme de THERANEXUS permet de générer différents candidats médicaments propriétaires à forte valeur ajoutée dans plusieurs indications.

THERANEXUS est cotée sur le marché Euronext Growth à Paris (FR0013286259- ALTHX).

Plus d'informations sur : www.theranexus.com



Contacts**THERANEXUS****Thierry LAMBERT**

Directeur Administratif et Financier

investisseurs@theranexus.fr**BEYOND BATTEN DISEASE FOUNDATION****Mary Beth Kiser**

President and CEO

Mbkiser@beyondbatten.org**FP2COM****Florence PORTEJOIE**

Relations Médias

+ 33 (0)6 07 76 82 83

fportejoie@fp2com.fr**ACTUS finance & communication****Caroline LESAGE / Théo MARTIN**

Relations Investisseurs

+33 (0)1 53 67 36 79 / +33 (0)1 53 67 36 75

theranexus@actus.fr