



Theranexus et la fondation BBDF annoncent la conclusion d'un accord de licence exclusive et mondiale pour le candidat-médicament BBDF-101 dans la maladie de Batten

- *L'accord prévoit le développement et la commercialisation du médicament après une étude clinique unique qui débutera en 2020*
- *En cas de succès, cette étude devrait conduire directement à l'enregistrement du médicament*

Lyon, 12 décembre 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 avec la Fondation Beyond Batten Disease (BBDF) d'un accord lui octroyant une licence exclusive mondiale pour le développement et l'exploitation commerciale du candidat-médicament BBDF-101 dans la forme juvénile de la maladie de Batten.

Cette signature de l'accord exclusif de licence mondiale fait suite à la signature d'un accord de principe le 27 juin dernier, qui accordait une période d'exclusivité de six mois à Theranexus pour la conclusion d'un accord définitif.

La maladie de Batten est une maladie neurologique pédiatrique rare et mortelle, d'origine génétique pour laquelle il n'existe aucun traitement. Elle appartient au groupe des céréïdes-lipofuscinoses neuronales (CLN). Beyond Batten Disease Fondation (BBDF) a financé les travaux de recherche visant à identifier et à valider BBDF-101, une combinaison propriétaire s'appuyant sur un effet synergistique entre deux principes actifs tout comme les candidats-médicaments de Theranexus déjà en cours de développement clinique.

L'accord de licence exclusive et mondiale entre BBDF et Theranexus prévoit le développement clinique du candidat-médicament BBDF-101 jusqu'à son enregistrement, ainsi que l'exploitation commerciale de celui-ci. Theranexus planifie également la poursuite des recherches sur la plateforme NeuroLead de candidats-médicaments ciblant les formes neurologiques de maladies lysosomales.

« Nous nous réjouissons de ce partenariat avec la fondation BBDF qui élargit l'approche de Theranexus aux maladies lysosomales à répercussions neurologiques. Cet actif complète de façon cohérente notre portefeuille avec un fort potentiel de création de valeur. Nous remercions la fondation BBDF et les familles de patients qui la soutiennent pour leur confiance dans Theranexus pour conduire le développement et la commercialisation de BBDF-101 au profit des patients », explique **Franck Mouthon, Président-directeur général de Theranexus.**

En contrepartie de cette licence, l'accord prévoit, de la part de Theranexus, le paiement à BBDF de sommes forfaitaires à la signature, à l'enregistrement et à l'atteinte d'objectifs commerciaux post-enregistrement. De plus, le contrat prévoit le versement de redevances calculées sur la base des ventes nettes de BBDF-101 une fois celui-ci commercialisé par Theranexus.

L'essai clinique sera lancé dès 2020 et comprendra des mesures d'efficacité comparant la progression des différents symptômes à l'évolution naturelle de la maladie préalablement documentée à partir de cohortes de patients déjà suivies. L'essai évaluera également l'inocuité et la pharmacocinétique de BBDF-101. Le principal centre d'investigation de l'étude sera le Texas Children's Hospital (TCH) de Houston, le 4^{ème} centre pédiatrique hospitalier le plus important aux Etats-Unis.

Conformément aux premières interactions avec la FDA, cette étude pivot devrait permettre à elle seule et en cas de succès d'enregistrer ce candidat-médicament aux Etats-Unis. Une fois l'enregistrement aux Etats-Unis acquis, la Société envisage de demander l'enregistrement de BBDF-101 en Europe sur la base de cette même étude.

« En tant que neuropédiatre je suis confronté au cas d'enfants et adolescents atteints de la maladie de Batten, pour lesquels je ne dispose malheureusement à ce jour d'aucun traitement. Toutes les équipes cliniques ont hâte de pouvoir évaluer prochainement l'efficacité de BBDF-101 chez ces patients », poursuit Gary Clark, Professeur en charge du département de neurologie pédiatrique au sein du Texas Children's Hospital, et investigateur principal de l'étude clinique sur BBDF-101. Au côté du Dr. Clark, le Comité Scientifique de l'étude rassemblera les plus grands spécialistes de la forme juvénile de la maladie de Batten : Jonathan Mink et Erika Augustine, Docteurs à l'université de Rochester, Angela Schulz et Miriam Nickel, Docteurs au Centre Médical Universitaire d'Hamburg-Eppendorf, Forbes Porter et An Dang Do Docteurs (PhD) à l'Institut National Eunice Kennedy Shriver de la Santé de l'Enfant et du Développement Humain (NICHD). Le NICHD servira également de centre d'évaluation pour l'étude. Ensemble, ces experts ont réalisé la plus importante collecte de données sur l'histoire naturelle de la maladie de Batten dans le monde.

« Après le succès reconstruit dans les travaux de recherche sponsorisés par BBDF pour mieux comprendre les mécanismes de la maladie puis identifier le candidat-médicament BBDF-101, je me réjouis de ce partenariat avec Theranexus qui va permettre de réaliser son développement clinique avec l'ambition d'apporter enfin une solution médicale pour le plus grand bénéfice des enfants et adolescents souffrant de cette maladie. Nous sommes à jamais reconnaissants envers nos donateurs, nos bénévoles et les familles partenaires de la fondation qui ont rendu cela possible », conclut Craig Benson, Président du Conseil d'Administration de BBDF.

A propos de la maladie de Batten

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 Etats-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.

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. Les travaux sponsorisés par BBDF ont dans un premier temps permis d'élucider les mécanismes de la maladie². 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

¹ National Organization for Rare Disorders (NORD) / Orphanet

² Settembre et al, TFEB links autophagy to lysosomal biogenesis, Science 2011

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 l'essai clinique de BBDF1010 dans la maladie de Batten

L'essai clinique comportera une cohorte adolescente/adulte et une cohorte pédiatrique :

- L'étude débutera par l'enrôlement d'une cohorte adolescente/adulte de 6 patients qui recevront tous le médicament BBDF-101 en escalade de dose, avec établissement de la tolérance et de pharmacocinétique pendant 5 mois. Pendant le reste de l'étude ces patients continueront de recevoir BBDF-101 et feront l'objet d'un suivi de sécurité.
- Une fois les mesures de pharmacocinétique et de tolérance de la cohorte adolescente/adulte obtenues, une cohorte pédiatrique de 30 patients sera enrôlée à son tour dans l'étude, et fera l'objet de mesures régulières d'évaluation de la progression de la maladie (vision, cognition, symptômes moteurs, etc.) et ce pendant une période de deux ans.

A l'issue de l'essai les données des patients seront comparées à l'évolution naturelle de la maladie telle que mesurée au sein de cohortes déjà suivies par des équipes académiques américaines et européennes.

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

FP2COM

Florence PORTEJOIE

Relations Médias

+ 33 (0)6 07 76 82 83

fportejoie@fp2com.fr

BEYOND BATTEN DISEASE FOUNDATION

Mary Beth Kiser

President and CEO

MbKiser@beyondbatten.org

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