

THX Pharma, BBDF et Biocodex annoncent le dépôt des demandes d'autorisation de l'essai clinique de phase 3 de Batten-1 dans la maladie de Batten juvénile (CLN3)

Lyon, France – Austin, Texas, États-Unis – Gentilly, France – 1^{er} septembre 2026, 18h00 CEST– THX Pharma (Theranexus), société biopharmaceutique innovante dans le traitement des maladies neurologiques rares, et ses partenaires Beyond Batten Disease Foundation (BBDF), et Biocodex, annoncent aujourd'hui le dépôt des demandes d'autorisation réglementaire de l'essai clinique de phase 3 de Batten-1 (étude Batten-1-02), formulation liquide orale propriétaire de miglustat, dans la forme juvénile de la maladie de Batten (CLN3).

Ces demandes d'autorisation ont été déposées auprès de la Food and Drug Administration (FDA) aux États-Unis, de la Medicines and Healthcare products Regulatory Agency (MHRA) au Royaume-Uni, ainsi que, pour l'Union Européenne, via le système centralisé d'information sur les essais cliniques (CTIS – Clinical Trials Information System), qui couvre les autorités compétentes des pays européens participant à l'étude (France, Allemagne, Pays-Bas, Danemark, Suède et Italie). Sous réserve de l'obtention de ces autorisations, le recrutement des patients devrait débuter d'ici la fin de l'année.

Batten-1-02 : une étude pivot internationale de phase 3

L'étude Batten-1-02 est un essai clinique de phase 3, ouvert, mono-bras et multicentrique, visant à démontrer l'efficacité du miglustat, sous sa formulation liquide orale propriétaire Batten-1, chez des patients pédiatriques atteints de la forme juvénile de la maladie de Batten (CLN3). Le critère principal de l'étude est une évaluation de l'acuité visuelle, critère d'évaluation standardisé, validé et recommandé par la FDA.

Environ 27 patients âgés de 4 ans à 17 ans, avec une forme syndromique de la maladie de Batten CLN3 et présentant, à l'inclusion, une acuité visuelle encore évaluable dans au moins un œil, seront traités pendant 52 semaines. L'acuité visuelle sous Batten-1 sera comparée à celle documentée dans des études d'histoires naturelles conduites depuis plusieurs années par le centre expert du National Institutes of Health (NIH) aux États-Unis ainsi que par l'hôpital universitaire de Hambourg (UKE) en Allemagne.

Sur la base de nos résultats précédents, l'effet thérapeutique attendu est une stabilisation de l'acuité visuelle après un an de traitement chez les patients recevant le miglustat, par comparaison aux patients non traités. Cette étude est intégralement financée par Biocodex, conformément à l'accord de licence mondial sur Batten-1 annoncé en février 2026. Elle sera conduite dans 10 centres de référence de la maladie de Batten aux États-Unis et en Europe.

**THXpharma****BIOCODEX**

Driven by life, dedicated to life

Mathieu Charvériat, Président et Directeur Général de THX Pharma, déclare : « *Le dépôt de ces demandes d'autorisation marque une étape déterminante pour le programme Batten-1 et pour les familles confrontées à la maladie de Batten, pour laquelle aucun traitement n'est aujourd'hui disponible. Cette avancée illustre la mobilisation de l'ensemble de nos partenaires — les centres cliniques experts et les associations de patients — autour d'un objectif commun : démontrer, au travers de cette étude pivot internationale, la capacité de Batten-1 à ralentir le déclin de l'acuité visuelle chez les enfants atteints de cette maladie neurodégénérative rare. Nous tenons à remercier chaleureusement les familles, les investigateurs ainsi que les associations de patients pour leur engagement à nos côtés dans ce programme.* »

Craig Benson, Fondateur et Président du Conseil d'Administration de la Beyond Batten Disease Foundation, déclare : « *Chaque famille qui rejoint cette étude le fait avec l'espoir que la science arrivera à temps pour son enfant. Le dépôt de ces demandes d'autorisation nous rapproche concrètement de ce moment : celui où les premiers patients pourront être inclus dans l'essai. En tant qu'association de patients atteints de la forme juvénile de la maladie de Batten la plus importante au monde, nous portons une responsabilité que nous prenons très au sérieux envers les familles qui nous ont fait confiance depuis 2008. Nous mesurons le chemin qu'il reste à parcourir, mais aussi la distance déjà franchie grâce à l'engagement de nos partenaires et des équipes cliniques mobilisées sur plusieurs continents.* »

Nicolas Coudurier, Directeur Général de Biocodex ajoute : « *Nous franchissons une étape concrète de la mise en œuvre de notre accord de licence mondiale avec THX Pharma. Conformément à cet accord, Biocodex apporte son soutien scientifique et financier au programme Batten-1, dont l'étude de phase 3 est pilotée par THX Pharma et mobilise des centres experts en Amérique du Nord et en Europe, aux côtés de la Beyond Batten Disease Foundation. Cet engagement s'inscrit dans une expertise que nous construisons depuis plus de trente ans dans les maladies neurologiques rares, et prépare l'étape suivante de notre mission : accompagner demain l'accès au marché et la mise à disposition de ce traitement pour les enfants atteints de la forme juvénile de la maladie de Batten et leurs familles.* »

À propos de THX Pharma (Theranexus)

THX Pharma (Theranexus, Euronext Growth : ALTHX) est une société biopharmaceutique spécialisée dans le développement de traitements innovants pour les maladies neurologiques rares. La société développe notamment TX01, une nouvelle formulation destinée au traitement de la maladie de Gaucher et de la maladie de Niemann-Pick de type C, ainsi que Batten-1, un candidat-médicament ciblant la forme juvénile de la maladie de Batten (CLN3). TX01 fait l'objet de plusieurs accords de licence avec des partenaires pharmaceutiques internationaux, parmi lesquels Exeltis et Biocodex, pour son développement et sa commercialisation dans différentes régions du monde. Batten-1 fait l'objet d'un accord de licence mondial avec Biocodex pour son développement et son exploitation commerciale. THX Pharma dispose par ailleurs d'une plateforme innovante d'oligonucléotides antisens, codéveloppée avec des laboratoires de recherche de premier plan, dédiée au développement de nouvelles approches thérapeutiques pour les maladies neurologiques rares. THX Pharma est cotée sur le marché Euronext Growth à Paris (ISIN : FR0013286259 – ALTHX).

Pour plus d'informations :

<http://www.thxpharma.com>

Suivez THX Pharma sur [LinkedIn](#)

À propos de la Beyond Batten Disease Foundation (BBDF)

La Beyond Batten Disease Foundation est une organisation à but non lucratif fondée à Austin, Texas, en 2008 par Craig et Charlotte Benson à la suite du diagnostic de la maladie de Batten juvénile (CLN3) de leur fille Christiane. Sous la direction de son Fondateur et Président du Conseil d'Administration, Craig Benson, BBDF a pour mission d'éradiquer la maladie de Batten juvénile en mobilisant la prise de conscience du grand public et les financements nécessaires pour accélérer le développement de traitements et la recherche d'un remède, et en fédérant les familles, les chercheurs et les partenaires industriels autour d'une stratégie scientifique coordonnée. Plus d'informations sur beyondbatten.org.

À propos de Biocodex

Biocodex est un laboratoire pharmaceutique français indépendant, présent dans plus de 100 pays, via ses filiales ou partenaires. Pionnier dans l'exploration du microbiote intestinal, il en a fait un axe stratégique central, convaincu que cet écosystème est clé pour une santé plus globale.

Le Groupe développe des solutions de santé innovantes autour de quatre domaines complémentaires : les microbiotes, la santé de la femme, les maladies rares et les produits établis répondant aux besoins de santé courants (santé mentale, sommeil, douleur...). Fidèle à son identité familiale, Biocodex porte une vision engagée de la santé, alliant excellence scientifique, ancrage industriel en France, rayonnement international et responsabilité sociétale, ce qui lui a valu l'obtention du label Engagé RSE – niveau Confirmé (★★), délivré par AFNOR Certification et reconnu en Europe à travers Responsibility Europe. « **Empowering everyone to live fully** » est sa raison d'être, portée par ses 1 800 collaborateurs à travers le monde.

Pour plus d'informations : <https://www.biocodex.com>



Contacts :

THX PHARMA

Christine PLACET

Directrice Administrative et Financière

contact@thxpharma.com

THX PHARMA / Agence FP2COM

Florence PORTEJOIE

Relations médias

+ 33 (0)6 07 76 82 83

fportejoie@fp2com.fr

BIOCODEX / Agence Monet

Anne-Lise Le Vaillant/Florence Desremaux

rpbiocodex@monet-rp.com



01 45 63 12 43

BEYOND BATTEN DISEASE FOUNDATION

Mary Beth Kiser

mbkiser@beyondbatten.org

Déclarations prospectives

Le présent communiqué contient des déclarations prospectives relatives à THX Pharma (Theranexus), à la Beyond Batten Disease Foundation, à Biocodex et à leurs activités respectives, notamment concernant le démarrage prévu, le calendrier, la conception et les résultats de l'essai clinique de phase 3 de Batten-1, les futures demandes d'autorisation réglementaire et les perspectives du programme Batten-1. THX Pharma, Biocodex et BBDF estiment que ces déclarations prospectives reposent sur des hypothèses raisonnables. Toutefois, les déclarations prospectives ne constituent pas des garanties de performances futures. Elles sont fondées sur des événements futurs et dépendent de circonstances susceptibles de se produire ou non, ainsi que de divers risques et incertitudes, notamment ceux décrits dans le document d'enregistrement universel déposé par la société auprès de l'Autorité des marchés financiers le 29 avril 2026 sous le numéro D.26-0321, disponible sur le site internet de la société, ainsi que de l'évolution de la conjoncture économique. Batten-1 est un candidat-médicament expérimental et n'a été approuvé par aucune autorité réglementaire. Ni THX Pharma ni Biocodex ni BBDF ne s'engagent à mettre à jour ou à réviser les déclarations prospectives contenues dans le présent communiqué, sauf si la législation ou la réglementation applicable l'exige.