



COMMUNIQUÉ DE PRESSE CONJOINT

THX Pharma, Biocodex et la Fondation Beyond Batten Disease s'engagent aux côtés de la communauté CLN3 à l'occasion de la Journée internationale de sensibilisation à la maladie de Batten

Les trois partenaires sont fiers d'être conjointement Sponsors Platinum de la BDSRA Annual Family Conference 2026, à l'occasion de laquelle ils feront un point sur le programme Batten-1 et le démarrage prochain de son étude pivot internationale de phase 3

Lyon, France – Gentilly, France – Austin, Texas, États-Unis – 9 juin 2026 – 8h00 CEST – À l'occasion de la Journée internationale de sensibilisation à la maladie de Batten qui a lieu ce jour, THX Pharma (Euronext Growth : ALTHX), société biopharmaceutique spécialisée dans le développement de traitements innovants pour les maladies neurologiques rares, Biocodex, groupe pharmaceutique international indépendant et pionnier de longue date dans le traitement des maladies pédiatriques rares, et la Fondation Beyond Batten Disease (BBDF), association à but non lucratif fondée par des familles de patients et dédiée à l'éradication de la maladie de Batten juvénile, réaffirment aujourd'hui leur engagement commun auprès des patients, des familles, des aidants et des cliniciens confrontés à la maladie de Batten CLN3.

Chaque 9 juin, la communauté Batten mondiale se mobilise pour faire connaître ce groupe de maladies neurodégénératives héréditaires rares qui touchent principalement les enfants et les jeunes adultes — et pour lesquelles les options thérapeutiques demeurent extrêmement limitées. Dans la forme juvénile (CLN3) de la maladie de Batten, les familles observent généralement une perte progressive de la vision au cours de la première décennie de vie, suivie de l'apparition de crises d'épilepsie, d'un déclin moteur progressif, d'une détérioration cognitive et d'un décès prématuré. Il n'existe à ce jour aucun traitement modificateur de la maladie approuvé pour la maladie de Batten CLN3.

Partenariat conjoint pour soutenir la conférence annuelle des familles de l'association BDSRA

Pour marquer cette journée de sensibilisation, THX Pharma, Biocodex et BBDF sont fiers d'annoncer qu'ils seront conjointement **Sponsors Platinum de la BDSRA Annual Family Conference 2026**, organisée par la Batten Disease Support, Research and Advocacy Foundation (Fondation BDSRA) **du 10 au 12 juillet 2026 au Westin Chicago Lombard (Illinois, États-Unis)**. La BDSRA Annual Family Conference est le plus grand rassemblement de familles, de cliniciens, de chercheurs et de partenaires industriels engagés autour de la maladie de Batten en Amérique du Nord, et un forum essentiel pour le partage d'expériences, l'information des familles et la diffusion des avancées scientifiques les plus récentes.

Des représentants de BBDF, THX Pharma et Biocodex seront présents tout au long de la conférence. Ils iront à la rencontre des familles et des membres de la communauté Batten au sens large, et présenteront conjointement un point d'avancement sur le **programme Batten-1**, un candidat-médicament à base de miglustat développé pour ralentir la progression de la maladie de Batten CLN3 — incluant le **démarrage prévu, plus tard dans l'année, de l'étude clinique pivot internationale de phase 3** destinée à soutenir les futures demandes d'autorisation de mise sur le marché.

« La Journée internationale de sensibilisation à la maladie de Batten est, pour l'ensemble des équipes de THX Pharma, un moment d'unité avec les familles et les patients qui sont la raison d'être de notre engagement. Les progrès accomplis sur Batten-1 — des résultats positifs de la phase 1/2 aux données récentes en vie réelle confirmant un bénéfice clinique sur la fonction visuelle, jusqu'au lancement imminent de notre étude pivot de phase 3 — n'ont été possibles que grâce à la confiance et à la mobilisation de la communauté CLN3 et de nos partenaires BBDF et Biocodex. Nous sommes honorés d'être à leurs côtés à Chicago en juillet prochain », a déclaré Mathieu Charvériat, Président-Directeur Général de THX Pharma.

« En rejoignant BBDF et THX Pharma comme Sponsor Platinum de la BDSRA Annual Family Conference, Biocodex réaffirme un principe qui guide notre franchise maladies orphelines depuis plus de trois décennies : les progrès qui comptent en neurologie pédiatrique rare se construisent avec les communautés de patients, pas pour elles. Nous sommes profondément engagés à faire progresser Batten-1 avec la rigueur scientifique et l'ambition opérationnelle que méritent les familles touchées par la maladie CLN3, et nous nous réjouissons d'écouter, d'apprendre et d'échanger à Chicago », a déclaré Nicolas Coudurier, Directeur Général de Biocodex.

« Pour nos familles, chaque 9 juin porte à la fois le poids du deuil et la force de la détermination. Dix-huit ans après la création de BBDF, nous sommes à l'aube d'un jalon dont nous n'osions que rêver en 2008 : une étude pivot internationale de phase 3 pour un candidat-médicament visant à ralentir la maladie de Batten CLN3. Voir THX Pharma et Biocodex nous rejoindre comme Sponsors Platinum de la BDSRA Conference 2026 est un signal fort pour notre communauté : nous ne sommes pas seuls sur ce chemin », a déclaré Craig Benson, Fondateur et Président du Conseil d'Administration de la Beyond Batten Disease Foundation.

À propos de Batten-1 et de l'étude pivot de phase 3 à venir

Batten-1 est un candidat-médicament expérimental, administré par voie orale et à base de miglustat, développé pour le traitement de la maladie de Batten juvénile (CLN3). Les résultats à 18 mois de l'étude de phase 1/2 Batten-1-01 (NCT05174039), conduite chez six jeunes adultes atteints de la maladie de Batten CLN3, ont démontré un profil de tolérance et un profil pharmacocinétique favorables, accompagnés de signaux biomarqueurs et cliniques encourageants — incluant un ralentissement de la progression des symptômes moteurs mesuré par le score modifié UBDRS Physical Assessment, ainsi qu'une diminution des taux de chaîne légère du neurofilament (NfL), un biomarqueur reconnu de la neurodégénérescence. Ces données ont été confortées en 2025 par des données en vie réelle, générées en collaboration avec BBDF, suggérant un bénéfice clinique du miglustat sur l'acuité visuelle des patients CLN3.



Sur la base de cet ensemble de données, les partenaires préparent le **démarrage en 2026 de l'étude clinique pivot internationale de phase 3** de Batten-1. Cette étude, intégralement financée par Biocodex dans le cadre de l'accord de licence mondial annoncé en février 2026, est destinée à soutenir les futures demandes d'autorisation de mise sur le marché dans les principales régions du monde, avec pour objectif de rendre Batten-1 accessible aux patients aussi rapidement et aussi largement que possible.

Batten-1 est un candidat-médicament expérimental et n'a été approuvé par aucune autorité réglementaire.

À propos de la Journée internationale de sensibilisation à la maladie de Batten

Célébrée chaque année le 9 juin, la Journée internationale de sensibilisation à la maladie de Batten est une initiative mondiale qui rassemble la communauté Batten — patients, familles, associations, cliniciens, chercheurs et industriels — pour sensibiliser le grand public aux céréoïdes-lipofuscinoses neuronales (NCL), un groupe de maladies neurodégénératives héréditaires qui touchent collectivement environ 1 personne sur 100 000 dans le monde. Cette journée appelle les pouvoirs publics, les professionnels de santé et l'ensemble de la société à accélérer le diagnostic, à élargir l'accès aux soins et à soutenir la recherche pour faire émerger des thérapies transformatrices.

À propos de la BDSRA Annual Family Conference

La BDSRA Annual Family Conference est l'événement phare de la **Batten Disease Support, Research and Advocacy Foundation (BDSRA Foundation)** et le plus grand rassemblement annuel de familles concernées par la maladie de Batten en Amérique du Nord. L'édition 2026 se tiendra du 10 au 12 juillet 2026 au Westin Chicago Lombard (Illinois, États-Unis), avec des activités pré-conférence le jeudi 9 juillet 2026. Plus d'informations sur bdsrafoundation.org.

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 groupe pharmaceutique français indépendant fondé en 1953, présent dans 115 pays à travers ses filiales et ses partenaires. Pionnier de longue date du traitement des maladies pédiatriques rares — en particulier avec Diacomit® (stiripentol) dans le syndrome de Dravet — Biocodex a construit une expertise reconnue en neurologie pédiatrique et en maladies orphelines. À travers des partenariats de long terme avec des innovateurs biotechnologiques et des communautés de patients, le Groupe s'engage à développer et à mettre à disposition des patients des traitements efficaces répondant à des besoins médicaux importants non satisfaits. Plus d'informations sur biocodex.com.

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, co-développée 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). <https://www.theranexus.com>

Contacts

THX Pharma	Biocodex	Beyond Batten Disease Foundation
Florence Portejoie Agence FP2COM fportejoie@fp2com.fr + 33 (0)6 07 76 82 83	BIOCODEX / Agence Monet Florence Desremaux, Anne-Lise Le Vaillant + 33 (0)1 45 63 12 43 rpbicodex@monet-rp.com	Mary Beth Kiser mbkiser@beyondbatten.org



Déclarations prospectives

Le présent communiqué de presse contient des déclarations prospectives relatives à THX Pharma (Theranexus), à Biocodex, à la Beyond Batten Disease Foundation et à leurs activités respectives, notamment le démarrage prévu, le calendrier, la conception et les résultats de l'étude clinique pivot internationale 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 à la date du présent communiqué. Toutefois, aucune assurance ne peut être donnée quant à la réalisation des attentes exprimées dans ces déclarations prospectives. Celles-ci sont soumises à des risques et incertitudes, notamment liés au développement clinique, à l'évaluation réglementaire, à la fabrication, à la commercialisation et au financement des thérapies expérimentales. Les résultats réels pourront différer sensiblement de ceux anticipés. 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.