

THX Pharma (Theranexus) et Exeltis obtiennent un avis favorable de l'EMA sur le Plan d'Investigation Pédiatrique (PIP) de TX01, ouvrant la voie à une demande d'enregistrement selon la procédure PUMA

L'approbation du PIP par le Comité pédiatrique (PDCO) de l'Agence européenne des médicaments (EMA) constitue une étape réglementaire majeure, ouvrant la voie au dépôt d'une demande d'Autorisation de Mise sur le Marché Pédiatrique (PUMA) et garantissant jusqu'à 10 ans de protection commerciale en Europe pour TX01 dans la maladie de Niemann-Pick de type C.

Lyon, France – Madrid, Espagne – 9 juin 2026 – 18h00 CEST – THX Pharma (Theranexus), société pharmaceutique spécialisée dans le traitement des maladies neurologiques rares, et Exeltis, laboratoire pharmaceutique international du groupe Insud Pharma, annoncent que l'Agence européenne des médicaments (EMA), par l'intermédiaire de son Comité pédiatrique (PDCO), a rendu un avis favorable concernant le Plan d'Investigation Pédiatrique (PIP) de TX01 dans la maladie de Niemann-Pick de type C. La décision de l'EMA confirme la conformité du programme de développement de TX01 aux exigences réglementaires pédiatriques européennes et ouvre la voie au dépôt d'une demande d'Autorisation de Mise sur le Marché Pédiatrique (PUMA) dans l'Union européenne. Le dépôt du dossier par Exeltis est prévu au premier trimestre 2027.

Cette avancée constitue une étape réglementaire majeure dans le cadre du partenariat entre THX Pharma et Exeltis. Elle s'inscrit dans la continuité du premier jalon clé atteint avec succès, annoncé le 14 octobre 2025, et confirme que les deux sociétés restent en bonne voie pour mettre TX01 à disposition des patients atteints de la maladie de Niemann-Pick de type C selon le calendrier prévu.

Une étape réglementaire décisive pour TX01

Le Plan d'Investigation Pédiatrique (PIP) est l'instrument réglementaire qui encadre le développement des médicaments pédiatriques dans l'Union européenne. L'avis favorable du Comité pédiatrique (PDCO) confirme que le programme de développement convenu – comprenant les volets qualité, préclinique et clinique, ainsi que la stratégie de formulation pédiatrique de TX01 – est adapté aux indications et aux populations pédiatriques visées. Il valide également le calendrier et la conception des études proposées.

L'avis favorable d'un PIP constitue par ailleurs un prérequis réglementaire indispensable à toute demande d'Autorisation de Mise sur le Marché Pédiatrique relevant de la procédure PUMA. Grâce à cette décision, THX Pharma et Exeltis disposent désormais d'une voie réglementaire claire et sécurisée pour déposer auprès de l'EMA une demande centralisée PUMA. Une fois accordée, cette autorisation permettra la commercialisation du médicament, via une autorisation de mise sur le marché unique, dans les 27 États membres de l'Union européenne ainsi qu'en Islande, au Liechtenstein et en Norvège.

Mathieu Charvériat, Président-Directeur général de THX Pharma, déclare : « L'obtention de l'avis favorable du PDCO sur le PIP constitue l'une des étapes réglementaires les plus exigeantes et les plus discriminantes qu'un programme de développement pédiatrique puisse franchir en Europe. Cette décision valide les fondements scientifiques et cliniques de TX01 et, tout aussi important, ouvre l'accès à la procédure PUMA, un cadre réglementaire particulièrement adapté qui combine un dossier ciblé, une procédure centralisée et jusqu'à 10 ans de protection du marché pédiatrique. Avec cette décision, THX Pharma et Exeltis sont pleinement en ligne avec leur feuille de route pour mettre TX01 à disposition des

patients européens, et nous confirmons notre objectif d'un lancement commercial en Europe dès 2027. »

La procédure PUMA : une voie réglementaire adaptée aux innovations pédiatriques à forte valeur ajoutée

La PUMA est une procédure d'autorisation spécifique de mise sur le marché créée par le règlement pédiatrique européen pour les médicaments développés exclusivement à usage pédiatrique à partir de substances actives déjà autorisées chez l'adulte.

Pour TX01, elle offre une combinaison particulièrement attractive de leviers réglementaires et commerciaux :

- **Jusqu'à 10 ans de protection du marché pédiatrique**, comparable à l'exclusivité accordée aux médicaments orphelins,
- **Une procédure européenne centralisée** permettant d'obtenir une autorisation unique, un Résumé des Caractéristiques du Produit (RCP) harmonisé et un étiquetage unique dans les 27 États membres de l'Union européenne ainsi qu'en Islande, au Liechtenstein et en Norvège, tout en simplifiant les démarches d'accès au marché,
- **Une position renforcée dans les négociations de prix et de remboursement**, les agences européennes d'évaluation des technologies de santé reconnaissant de plus en plus la valeur différenciante des formulations spécifiquement pédiatriques et du statut PUMA dans les maladies ultra-rares.

Un engagement commun en faveur des patients atteints de la maladie de Niemann-Pick de type C

TX01 est une nouvelle formulation pédiatrique d'un composé déjà approuvé, développée pour répondre aux besoins spécifiques des enfants atteints de la maladie de Gaucher et de la maladie de Niemann-Pick de type C, deux maladies de surcharge lysosomale rares, progressives et sévèrement invalidantes, pour lesquelles les options thérapeutiques pédiatriques demeurent limitées. L'annonce d'aujourd'hui renforce la pertinence stratégique du partenariat entre THX Pharma et Exeltis et confirme l'objectif d'une commercialisation en Europe dès 2027, avant un déploiement en Amérique latine et dans certains pays du Moyen-Orient.

À propos de THX Pharma

THX Pharma (Theranexus) est une société pharmaceutique spécialisée dans le traitement des maladies neurologiques rares. Son premier médicament, TX01, devrait être prochainement commercialisé, notamment en Europe par Exeltis, et également aux États-Unis, au Canada et en Australie, pour le traitement de la maladie de Niemann-Pick de type C et de la maladie de Gaucher. Son second médicament, Batten-1, cible la forme juvénile de la maladie de Batten et pourrait devenir le premier traitement approuvé dans cette indication. THX Pharma dispose également d'une plateforme innovante d'oligonucléotides antisens, développée en partenariat avec des laboratoires de recherche de premier plan et dédiée aux maladies neurologiques rares. THX Pharma, dénomination commerciale de Theranexus, est cotée sur Euronext Growth Paris (FR0013286259 – ALTHX).

Pour plus d'informations : www.thxpharma.com - Suivez THX Pharma sur [LinkedIn](#)

À propos du groupe Insud Pharma

Insud Pharma est un groupe pharmaceutique fort de plus de 45 ans d'expérience, présent dans près de 50 pays, comptant 10 000 collaborateurs dans le monde et disposant de 20 sites de production. Le groupe intervient sur l'ensemble de la chaîne de valeur pharmaceutique, de la recherche scientifique au développement, à la fabrication, à l'enregistrement, à la commercialisation et à la distribution d'ingrédients pharmaceutiques actifs, de médicaments finis, de produits de santé innovants pour l'humain et l'animal ainsi que de produits biopharmaceutiques.

Insud Pharma s'engage à améliorer la santé mondiale en proposant des traitements accessibles, efficaces, sûrs et de haute qualité, grâce à des investissements continus en R&D et dans les technologies les plus avancées. À travers sa marque Exeltis, le groupe occupe une position de premier plan dans la santé de la femme et est un acteur majeur dans les pathologies du système nerveux central.

Contacts:

THX PHARMA

Christine Placet
Chief Financial Officer
contact@thxpharma.com

FP2COM

Florence Portejoie
Relations médias
+33 (0)6 07 76 82 83
fportejoie@fp2com.fr

Avertissement

Le présent communiqué de presse contient des déclarations prospectives relatives à THX Pharma (Theranexus) et à ses activités, notamment concernant ses perspectives et le développement de ses produits. THX Pharma estime que ces déclarations prospectives reposent sur des hypothèses raisonnables.

Toutefois, les déclarations prospectives ne constituent pas des garanties de performances futures dans la mesure où elles se rapportent à 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 (AMF) le 29 avril 2026 sous le numéro D.26-0321, dont une copie est disponible sur le site internet de la société (www.thxpharma.com), ainsi que de l'évolution de la conjoncture économique.