

THERANEXUS S'ASSOCIE À SYNERLAB POUR PRÉPARER LA COMMERCIALISATION DE SA FORMULATION PÉDIATRIQUE DANS LA MALADIE DE NIEMANN-PICK DE TYPE C

- **Theranexus a développé la première solution buvable de miglustat, adaptée aux besoins des patients atteints de la maladie de Niemann-Pick de type C,**
- **Theranexus prépare l'enregistrement de cette formulation auprès de l'Agence Européenne du Médicament (EMA) et vise à commercialiser ce médicament dès 2026,**
- **Synerlab Development sera en charge de la production industrielle des lots commerciaux,**
- **Theranexus est en discussions très avancées avec différents acteurs de l'industrie pour la distribution et la commercialisation du médicament.**

Lyon, France – 17 octobre 2024 – 18h CEST - Theranexus, société biopharmaceutique innovante dans le traitement des maladies neurologiques rares, et Synerlab Group, société de développement et fabrication en sous-traitance pharmaceutique (CDMO), annoncent la signature d'un partenariat selon lequel Synerlab Development fabriquera les premiers lots commerciaux de la formulation pédiatrique exclusive du miglustat, développée par Theranexus. Cette formulation propriétaire sera enregistrée d'abord auprès de l'EMA dans la maladie de Niemann-Pick de type C, sa commercialisation pourrait commencer d'ici 2026.

Theranexus a breveté et validé la toute première formulation buvable de miglustat dans le contexte de son développement dans la maladie de Batten. Ce nouveau projet s'appuyant sur cette forme galénique innovante et exclusive vient enrichir le portefeuille de Theranexus et s'inscrit en parallèle du projet Batten, offrant ainsi une nouvelle voie de valorisation des travaux menés à ce jour par Theranexus. Cette formulation buvable, désignée Mig-OS, présente un fort intérêt dans la prise en charge des patients atteints de la maladie de Niemann-Pick de type C¹ (NPC) en offrant une nouvelle option thérapeutique au bénéfice des patients pédiatriques et/ou dysphagiques.

Le miglustat est le seul traitement de la maladie de NPC enregistré en Europe, maladie neurodéveloppementale sévère touchant près de 1 500 patients en Europe, dont 71% atteints d'une forme pédiatrique. La seule formulation disponible à ce jour est une gélule de 100 mg, peu adaptée au traitement de cette population de patients jeunes, 70% d'entre eux présentent des troubles importants de la déglutition (dysphagie).

Forte de son expertise, en formulation et en production industrielle, Synerlab Développement prendra en charge la production et la validation des lots commerciaux de Mig-OS, selon les réglementations de l'EMA en vigueur. Theranexus pourra ensuite procéder, au second semestre 2025, au dépôt du dossier d'enregistrement centralisé auprès de l'EMA, en vue d'un lancement commercial avant la fin de l'année 2026. Theranexus pourrait opter pour une voie d'enregistrement appelé PUMA (*Paediatric-Use Marketing Authorisation*), conférant 10 ans d'exclusivité commerciale, une protection similaire à celle d'un médicament disposant d'une désignation orpheline.

Pour Mathieu Charvériat, Président-directeur général de Theranexus : « *Notre formulation constitue une innovation pour les patients atteints de la maladie de Niemann-Pick de type C et nous sommes heureux du partenariat avec Synerlab Development, qui fait preuve d'une grande agilité et d'une forte expertise dans la production industrielle de notre médicament. Les besoins de financement pour ce projet sont nettement inférieurs à ceux nécessaires à notre projet dans la maladie de Batten, moins de 2 millions d'euros pour un enregistrement en Europe, et les retours financiers potentiels plus précoces, et significatifs pour la société – en effet, le marché du NPC adressable est estimé à plus de 200 m€, avec une forte exclusivité conférée par notre propriété industrielle ainsi que par le statut PUMA en Europe. Nous explorons diverses voies de financement et sommes d'ores-et-déjà en discussions très avancées avec plusieurs partenaires industriels pour exploiter ce produit dans différents territoires*

¹ La maladie de Niemann-Pick type C est une maladie lysosomale rare qui perturbe le métabolisme lipidique, causant des troubles neurologiques progressifs sévères, tels que la perte de coordination ou encore des troubles cognitifs.

en commençant par l'Europe. Au-delà du fort intérêt financier, à terme relativement court pour la société, ce projet constituera également une opportunité de poursuivre le développement dans la maladie de Batten ».

« Nous sommes fiers de collaborer avec Theranexus pour la production des premiers lots commerciaux de cette nouvelle formulation du miglustat. Ce partenariat reflète notre engagement à soutenir le développement de traitements innovants qui répondent à des besoins médicaux critiques, en particulier pour des maladies rares. Grâce à notre expertise et à nos installations conformes aux normes GMP, nous mettons tout en œuvre pour garantir une production de haute qualité et contribuer à rendre cette nouvelle option thérapeutique accessible aux patients souffrant de ces maladies lysosomales », conclut Alexandra Lecourbe, directrice générale de Synerlab Development.

A propos de Theranexus

Theranexus est une société biopharmaceutique innovante, issue du CEA et spécialisée dans le traitement des maladies neurologiques rares. La Société dispose d'une plateforme unique d'identification de caractérisation de candidats médicaments de thérapie innovante dans le domaine des troubles neurologiques rares et d'un premier candidat médicament en développement clinique dans la maladie de Batten.

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

A propos de Synerlab

Synerlab est un groupe européen de sous-traitance pharmaceutique, offrant une gamme complète de services, de la formulation à la production. Avec une expertise reconnue dans la fabrication de médicaments pour des conditions médicales spécifiques, Synerlab s'engage à accompagner ses partenaires dans le développement de traitements sûrs, efficaces et conformes aux normes de qualité les plus strictes.

Dans le cadre de la cession en cours à Blue Wolf Capital Partners, soumise aux autorisations réglementaires, la nouvelle plateforme Européenne, composée de Synerlab et des 7 sites achetés à Recipharm, se renforce dans le domaine de la production de lots cliniques et de toutes petites séries avec deux sites dédiés en Suède en complément de Synerlab Développement à Orléans.

Plus d'informations sur :

<http://www.theranexus.com>

Cliquez et suivez-nous sur Twitter et LinkedIn



Contacts :

THERANEXUS

Christine PLACET

Directrice Administrative et Financière

contact@theranexus.com

FP2COM

Florence PORTEJOIE

Relations médias

+ 33 (0)6 07 76 82 83

fportejoie@fp2com.fr