

[CLN](#)

- [La maladie](#)
- [Informations médicales](#)
[Biologie, génétique : les mécanismes](#)[Les symptômes](#)[Les traitements existants](#)
- [Au quotidien](#)
[Éducation](#)[Activités physiques](#)[Activités quotidiennes](#)[Communication non verbale](#)[Aides à la communication](#)[Pictogrammes tactiles](#)[Alimentation mixée](#)[Soutien postural](#)[Anxiété](#)[Épilepsie](#)

[Heather House](#)[Les associations et soutiens](#)[Références et liens](#)[COVID et CLN](#)[Week-end des familles VML 2019](#)[Week-end des familles VML 2018](#)[BDFA Family Conference 2017](#)[Week-end des familles VML 2017](#)[BDFA Family Conference 2016](#)

- [Témoignages](#)
[Perte de la parole](#)[Carnet de bord d'un proche aidant](#)
- [La recherche](#)
[La recherche, comment ça marche](#)[Les traitements envisagés](#)

[Actualités des essais cliniques](#)[Annonce essai clinique CLN-301](#)[Nouvelles données sur Batten-1](#)[La recherche pré-clinique](#)[Actualités de la recherche pré-clinique](#)[Troubles du comportement](#)[Financement BDGRI 2025](#)[NCL 2023, Hambourg](#)[NCL 2018, London](#)[NCL 2018, London \(détails\)](#)

- [Rechercher](#)
- [À propos](#)



Nouvelles données sur Batten-1 : un traitement prometteur pour préserver la vision dans CLN3

Un résultat positif a été annoncé par la collaboration entre la société biopharmaceutique française Theranexus et la Fondation Beyond Batten Disease Foundation (BBDF, États-Unis). Ils annoncent de nouveaux résultats très positifs sur Batten-1, un traitement oral à base de miglustat (déjà utilisé notamment pour la maladie de Gaucher et la maladie de Niemann-Pick C) pour les enfants atteints de la maladie de Batten de type CLN3. Ces nouvelles données, issues de situations réelles chez onze patients âgés au moins de 17 ans, montrent une préservation notable de la vision après 12 mois de traitement, comparée à vingt-deux patients non traités.

Ces résultats sont particulièrement encourageants, car la perte rapide de l'acuité visuelle est l'un des premiers et plus lourds symptômes de CLN3. L'étude repose sur des données recueillies à travers des études d'histoire naturelle, des entretiens familiaux et des rapports médicaux. Elle a utilisé une méthode rigoureuse pour comparer les groupes traités et non traités (test statistique prenant en compte les variables confondantes). À noter : ces résultats s'ajoutent aux observations déjà positives de l'essai de phase I/II, mené chez des patients de plus de 17 ans, où le traitement a été bien toléré. Batten-1 agit en bloquant des substances toxiques (glycosphingolipides, se trouvant dans la membrane cellulaire du système nerveux) et en réduisant l'inflammation cérébrale, des mécanismes au cœur de la progression de la maladie.

Un point important : l'essai clinique de phase III a obtenu l'aval simultané de la FDA (États-Unis) et de l'EMA (Europe). Cette reconnaissance des deux grandes agences sanitaires mondiales pourrait faciliter un accès plus rapide et équitable au traitement pour les enfants en Europe. Le médicament sera administré sous forme liquide, mieux adaptée aux jeunes patients. De nombreuses familles et professionnels de santé voient dans ces résultats un véritable espoir. Comme le résume le Dr Gary Clark (Baylor College of Medicine) : « Obtenir une quasi-stabilisation de la vision est vraiment remarquable et sans précédent. »

En savoir plus

- [Le communiqué de presse](#) (13 mai 2025, en anglais)
- [Comprendre la molécule miglustat \(wikipédia\)](#)
- Accéder à l'essai clinique : [ClinicalTrials.gov - NCT05174039](#)
- [Se familiariser avec les types d'essais cliniques](#)

© Jean-Marie Favreau, [VML](#), [MetabERN](#) — dernière modification 8 mai 2026. Vous pouvez télécharger cette page [au format pdf](#).

Si vous voulez soutenir la recherche et aider l'association VML qui accompagne les familles touchées par les maladies de Batten, envisagez de [faire un don](#).