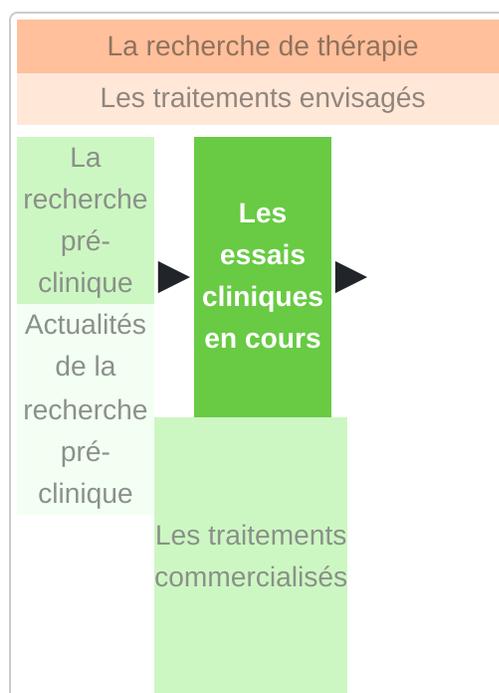


Actualité des essais cliniques

La recherche médicale sur les maladies rares implique de nombreux acteurs, aux compétences très différentes. Les différentes étapes qui mènent à la commercialisation d'un traitement sont complexes, mais bien établies.

Cette page, mise à jour régulièrement, présente les essais cliniques en cours sur les maladies de Batten. Comme nous l'avons présenté dans la page résumant les étapes de la [recherche scientifique](#), cette étape est la dernière étape avant la commercialisation d'un traitement.

La recherche de thérapies se structure en plusieurs étapes distinctes, depuis la recherche pré-clinique jusqu'à la commercialisation d'un traitement. En utilisant le tableau ci-joint, vous trouverez de l'information sur chacune des étapes.



L'actualité de la recherche semble parfois avancer bien doucement pour les familles de patients. En octobre 2018, on rapportait plusieurs annonces de tests cliniques pour les CLN,

comme l'annonçait Delphine Génévaz sur [le site de VML](#). La présente page s'enrichit régulièrement de ces annonces, et nous tentons de la maintenir le plus possible à jour. N'hésitez pas à nous contacter si vous pensez qu'il manque des informations.

Quand on consulte [le site américain listant les essais cliniques](#), on trouve plusieurs entrées, dont une partie concernent le produit proposé par BioMarin. Mais avec le bouillonnement que l'on peut voir dans les laboratoires en ce moment, à l'image des [présentations scientifiques présentées à la BDFA Family Conference de 2017](#), on peut penser que d'autres solutions arriveront dans les années à venir au stade des essais cliniques.

Le 20 septembre 2018, l'entreprise Amicus Therapeutics a [annoncé](#) avoir signé un accord définitif lui donnant les droits d'exploitation d'une approche de thérapie génique concernant 10 maladies, dont la CLN3, CLN6 et CLN8. Cette approche a été développée au stade pré-clinique par le [Center for Gene Therapy](#) du *Nationwide Children's Hospital*, et de l'*Ohio State University*, et poussé au stade de l'**essai clinique phase 1/2** pour la [CLN6](#) (2016-2021) et la [CLN3](#) (2018-).

Dans la suite de ce document, vous trouverez plus d'information sur les essais cliniques concernant chacune des variantes de la maladie de Batten, actuellement actifs, et ouverts au recrutement au moment de la dernière modification de la page.

Essais cliniques pour la CLN3

Depuis décembre 2018, un [essai clinique en phase 1/2](#) est ouvert au recrutement au *Nationwide Children's Hospital* de Columbus (Ohio). Ouvert aux enfants CLN3 de 3 à 10 ans, il s'agit d'une approche par thérapie génique proposée par *Amicus Therapeutics*.

En août 2022, l'entreprise Theranexus et BBDF [ont annoncé initié la phase III](#) d'essais cliniques concernant un candidat médicament pour la CLN3, aux États-Unis et au Royaume-Uni. Cette annonce fait suite à celle de septembre 2021, où [ils avaient](#)

[annoncé la phase I/II](#), et à celle de 2019 où l'entreprise [avait annoncée](#) avec la fondation *Beyond Batten Disease Foundation* l'identification de ce candidat médicament, qui s'appuie sur la combinaison de deux molécules déjà autorisées sur le marché pour d'autres pathologies. En mai 2025, on annonce [de nouvelles données au sujet de Batten-1](#).

En avril 2025, L'hôpital Nationwide Children's Hospital (Ohio, États-Unis) finance le programme "CLN-301" de l'entreprise de biotechnologie Alcyone Therapeutics. Plus d'information sur [notre page dédiée](#).

© Jean-Marie Favreau, [VML](#), [MetabERN](#) — dernière modification 15 mai 2025. 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](#).