

# THERANEXUS

Société biopharmaceutique innovante spécialisée dans le traitement  
des maladies neurologiques rares

**PRÉSENTATION INVESTISSEURS**

Juin 2023

# Disclaimer

Cette présentation a été préparée par Theranexus S.A. (la « Société ») et est uniquement fournie à titre informatif.

Les informations et opinions contenues dans cette présentation sont fournies uniquement à la date de la présentation et peuvent être mises à jour, complétées, revues, vérifiées ou amendées et donc faire l'objet de modifications significatives.

Les informations contenues dans cette présentation n'ont pas été vérifiées par une source indépendante. Aucune déclaration, garantie ou engagement, explicite ou implicite, n'est fait par la Société ou l'un de ses administrateurs, dirigeants, affiliés ou toute autre personne quant à l'exactitude, l'exhaustivité ou la pertinence des informations et opinions contenues dans cette présentation. Ni la Société, ni ses conseillers ou représentants n'acceptent de responsabilité et ne peuvent être tenus pour responsables de toute perte ou dommage pouvant résulter de l'utilisation de cette présentation ou des informations ou opinions qu'elle contient.

La présentation contient des informations sur la Société de manière résumée. Toute décision d'acquiescer ou de souscrire des titres de la Société devra être prise uniquement sur le fondement des informations contenues dans le document d'enregistrement universel déposé auprès de l'Autorité des marchés financiers le 26 avril 2023 sous le numéro D.23-0345 (dont une copie est disponible sur le site internet de la Société – [www.theranexus.com](http://www.theranexus.com)). Nous attirons en particulier votre attention sur les facteurs de risque décrits dans ce document.

La présentation contient des informations sur les marchés et la position concurrentielle de la Société et, plus particulièrement, sur la taille de ses marchés. Ces informations proviennent de différentes sources externes ou d'analyses établies par la Société. Les investisseurs ne devraient pas fonder leur décision d'investissement sur ces informations.

Cette présentation contient certaines déclarations prospectives. Ces déclarations ne constituent pas une garantie de la performance future de la Société. Ces déclarations prospectives concernent les perspectives, les développements et la stratégie marketing de la Société. Elles sont basées sur des analyses de prévisions de bénéfices et des estimations de montants non encore déterminables. Les déclarations prospectives sont soumises à divers risques et incertitudes car elles sont liées à des événements futurs et dépendent de circonstances qui peuvent ou non se matérialiser à l'avenir. Les déclarations prospectives ne peuvent en aucun cas être interprétées comme une garantie des résultats futurs de la Société et de ses performances réelles, y compris sa situation financière, ses résultats et de ses flux de trésorerie, ainsi que de l'évolution du secteur dans lequel la Société exerce ses activités, peuvent différer sensiblement de ceux proposés ou reflétés dans les déclarations prospectives contenues dans cette présentation. Même si les performances de la Société, y compris sa situation financière, ses résultats, ses flux de trésorerie et les évolutions du secteur dans lequel la Société opère étaient conformes aux déclarations prospectives contenues dans la présentation, ces résultats ou évolutions ne peuvent en aucun cas être interprétés comme une indication fiable de résultats ou développements futurs de la Société.

Cette présentation, et les informations qu'elle contient, ne constitue ni une offre de vente ou de souscription, ni la sollicitation d'un ordre d'achat ou de souscription, des actions de la Société dans un quelconque pays.

La diffusion de cette présentation peut, dans certains pays, faire l'objet d'une réglementation spécifique. Les personnes en possession de cette invitation doivent donc s'informer des éventuelles restrictions locales et s'y conformer.

# Speakers



**Mathieu CHARVERIAT**

CEO & Co-founder

Ecole Polytechnique et Mines Paris-Tech

Docteur en neurosciences et biologie  
cellulaire de l'Institut Pierre et  
Marie Curie.

Programme HEC Challenge +



**Thierry LAMBERT**

Chief Financial Officer

Diplômé en Business Administration  
l'Université de Birmingham

MBA (Master of Business  
Administration) de l'INSEAD

Expert-comptable certifié de l'ICAEW  
(Institute of Chartered Accountants in  
England and Wales)

# Theranexus, une société avec un actif clinique aux portes de la Phase 3

...développant des candidats médicaments pour lutter contre des troubles neurologiques rares



Maladie de Batten juvénile (CLN3)  
P1-2 entièrement recruté et en cours

Plate-forme dédiée aux maladies lysosomales

Plate-forme dédiée aux maladies avec hyperexcitabilité neuronale



La plateforme de R&D s'appuie notamment sur 3 collaborations scientifiques:

**Neurolead**


Plateforme d'identification de candidats médicaments sur la base de modèles pathologiques de maladies neurologiques rares



**COLLÈGE DE FRANCE**  
— 1530 —

**INSERM**



Identification de candidats médicaments de thérapies innovantes (ASO<sup>1</sup>) dans les maladies neurologiques rares



**La science pour la santé**  
From science to health

**AlstroSight**

Méthodes numériques innovantes pour la recherche de nouveaux candidats médicaments pour traiter des maladies neurologiques rares

**Université Claude Bernard**  
Lyon 1

---

Batten-1,  
un actif clinique  
particulièrement  
attractif

---

THERANEXUS 

# Un premier actif particulièrement prometteur dans la maladie de Batten Juvénile (CLN3)

## UN PARTENARIAT STRUCTURANT

- BBDF : la principale fondation de patients dans ce domaine



## DÉCOUVERTE RÉCENTE DU MÉCANISME DE LA MALADIE

- Rôle central de l'accumulation des GSL<sup>1</sup> dans la mort des neurones<sup>2,3</sup>

## UTILISATION D'UNE MOLÉCULE ENREGISTRÉE DONT LE MÉCANISME D'ACTION EST VALIDÉ EN CLINIQUE

- Capacité établie à passer la BHE<sup>4</sup> et inhiber la formation des GSL dans des patients atteints de maladies lysosomales du SNC

## BATTEN-1 : UNE FORMULATION LIQUIDE EXCLUSIVE

- La plus adaptée aux besoins des patients
- Bénéficie de plusieurs niveaux de protection

## NEWSFLOW DENSE À COURT ET MOYEN TERME

- Lancement Phase 3 US/Europe fin 2023
- Résultats P1/2 fin 2023 et 2024
- Résultats intermédiaires Phase 3 à partir de 2025

## FIRST-TO-MARKET DANS UN MARCHÉ À FORT POTENTIEL

- Seul actif en développement clinique dans CLN3
- Résultats finaux Phase 3 fin 2026
- Enregistrement S1-2027
- >500 M\$ de pic de ventes estimé

# CLN3 : le mécanisme de la maladie a été découvert grâce aux travaux académiques récents financés par BBDF



700 à 1 000 patients aux USA<sup>1</sup>



800 à 1 000 patients dans l'UE<sup>2</sup>

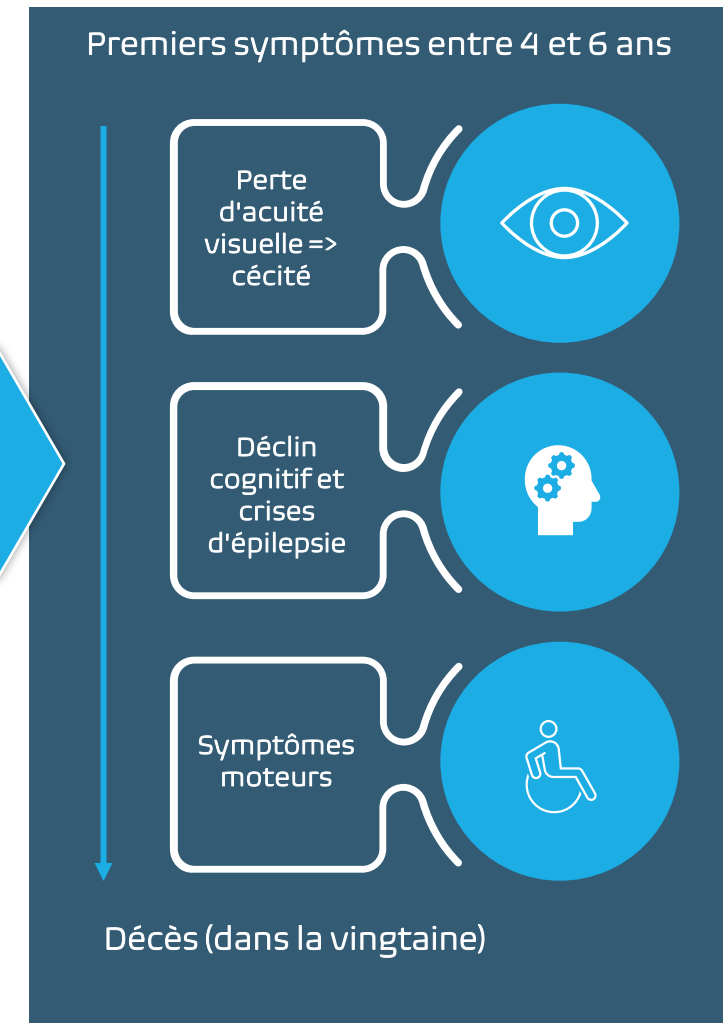
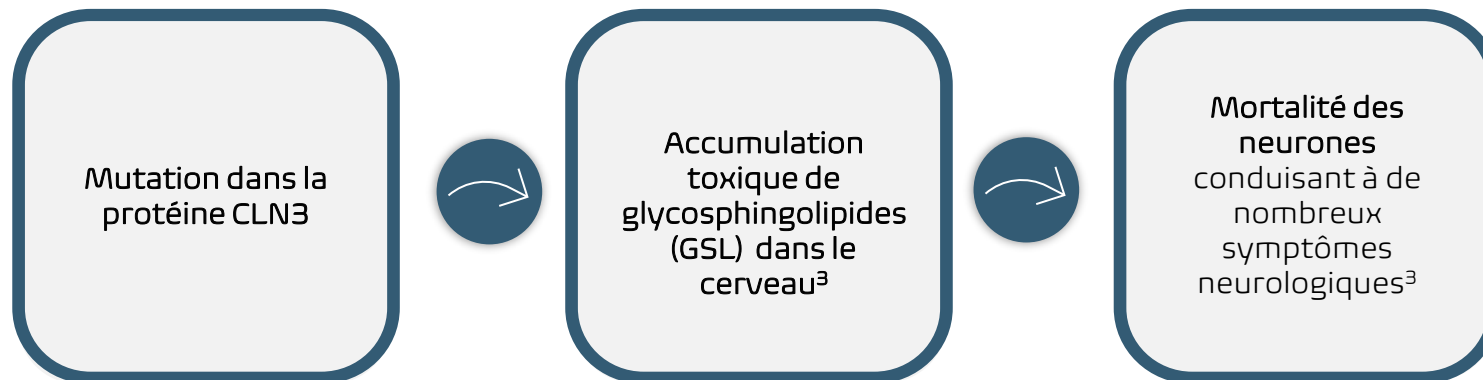


Aucun traitement enregistré



Transmission autosomique récessive, effet fondateur localisé dans les pays nordiques

Rationnel scientifique ayant conduit à Batten-1 : comment réduire l'accumulation des glycosphingolipides ?



<sup>1</sup> Sur la base de données d'assurance (Decision Resources Group)

<sup>2</sup> Données Orphanet

<sup>3</sup> Travaux réalisés par le laboratoire d'Emyr Lloyd Evans à l'université de Cardiff (financés par la Beyond Batten Disease foundation) et travaux confirmatoires menés par Theranexus

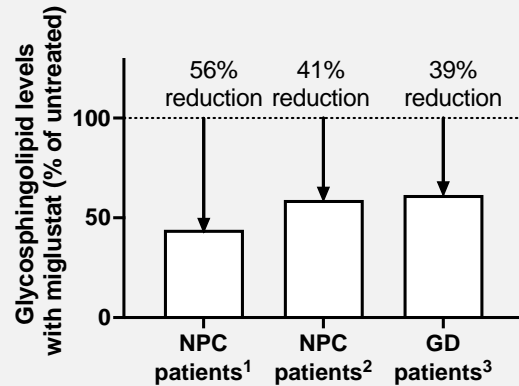
# Batten-1 (miglustat) cible la synthèse des glycosphingolipides dont l'accumulation est toxique pour les neurones

Réduction des GSL par le miglustat déjà validée chez l'homme dans d'autres indications...

...une activité validée également sur des modèles précliniques dans CLN3...

...entraînant une réduction de la mortalité cellulaire dans le cerveau

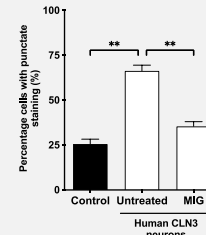
Niveaux de GSL fortement réduits  
(démonstration clinique dans des indications similaires)



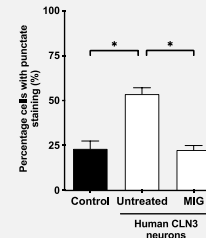
<sup>1</sup> Lachmann et al, 2004  
<sup>2</sup> Fan et al, 2013  
<sup>3</sup> Zavesca labeling package, EMA, 2005

Accumulation de GSL fortement réduite dans CLN3

Ganglioside GM1



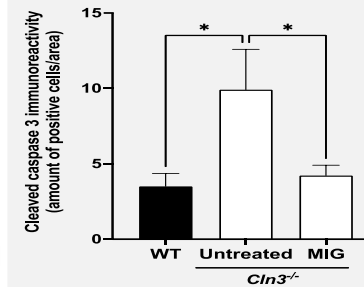
Globoside Gb4



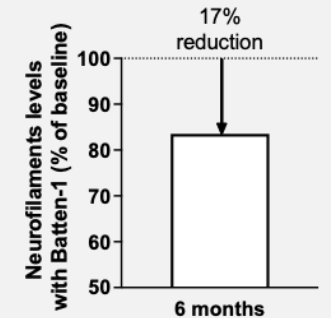
Modèles cellulaires humain CLN3<sup>1</sup>



Apoptose  
(données précliniques)<sup>2</sup>



Réduction des NfL, biomarqueur de la mort neuronale  
(données cliniques P1/2)<sup>3</sup>



Batten-1: un mécanisme d'action bien connu et déjà validé chez l'Homme

<sup>1</sup>Travaux réalisés par le laboratoire d'Emyr Lloyd Evans à l'université de Cardiff (financés par la Beyond Batten Disease foundation) et travaux confirmatoires menés par Theranexus; Glycosphingolipid reduction with miglustat as a therapeutic strategy for CLN3 and other neuronal ceroid lipofuscinoses, Dr Emyr Lloyd-Evans, Cardiff University

<sup>2</sup>Travail effectué dans le laboratoire de Marco Sardiello (Baylor College of Medicine, US), financé par la BBDF

<sup>3</sup>Résultats préliminaires après 6 mois de traitement dans le cadre de la phase 1/2 de Batten-1



# Des résultats préliminaires cliniques de phase 1/2 encourageants

Un profil de tolérance déjà validé en P1/2 ; des premiers signaux encourageants d'efficacité



- **6 patients** atteints de la forme juvénile de la maladie de Batten, âgés de 17 ans et plus
- Etude conduite par des centres de référence de la maladie de Batten aux Etats-Unis
- Bon profil de tolérance et de pharmacocinétique conforme aux attentes après 9 semaines

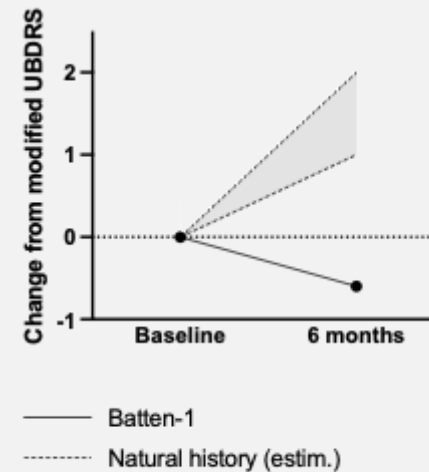


## Résultats préliminaires à 6 mois

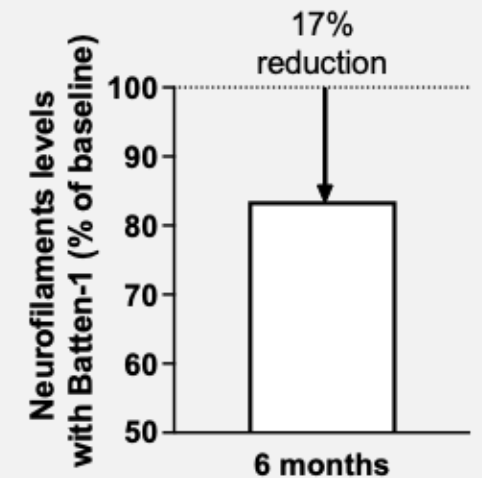
- Diminution de la chaîne légère des neurofilaments (NFL), dans le sang des patients dosés
- Stabilisation des symptômes moteurs comparée à une dégradation attendue selon l'histoire naturelle de la maladie

PRINCIPAUX RESULTATS CLINIQUES  
ATTENDUS FIN 2023 ET 2024

## Stabilisation des symptômes moteurs



## Réduction des NFL Biomarqueur de la mort neuronale



Des résultats préliminaires suggérant un effet de Batten-1 sur la mort neuronale et des premiers signaux d'efficacité clinique

# Batten-1 : une étude de Phase 3 au design validé par la FDA et l'EMA

## Accords de la FDA et de l'EMA obtenus sur le design et les critères d'efficacité de l'étude de Phase 3 pivot



- Une seule étude de Phase 3 permettrait d'enregistrer le candidat Batten-1 dans la maladie de Batten
- Etude menée en parallèle dans plusieurs centres aux Etats-Unis et en Europe



- **Etude randomisée** en double-aveugle qui évalue l'efficacité de Batten-1 sur 2 ans de traitement, versus placebo



**Population cible :**  
environ 60 patients âgés de 4 à 16 ans



**Cohorte supplémentaire :**  
de 9 patients en ouvert générant des résultats intermédiaires tous les 6 mois



**Critère principal :**  
Acuité visuelle

Évaluée par :

- Une échelle quantitative de mesure en LogMar<sup>1</sup>
- Une échelle qualitative chez les patients les plus atteints, non évaluables quantitativement

Critères secondaires :



Fonctions cognitives

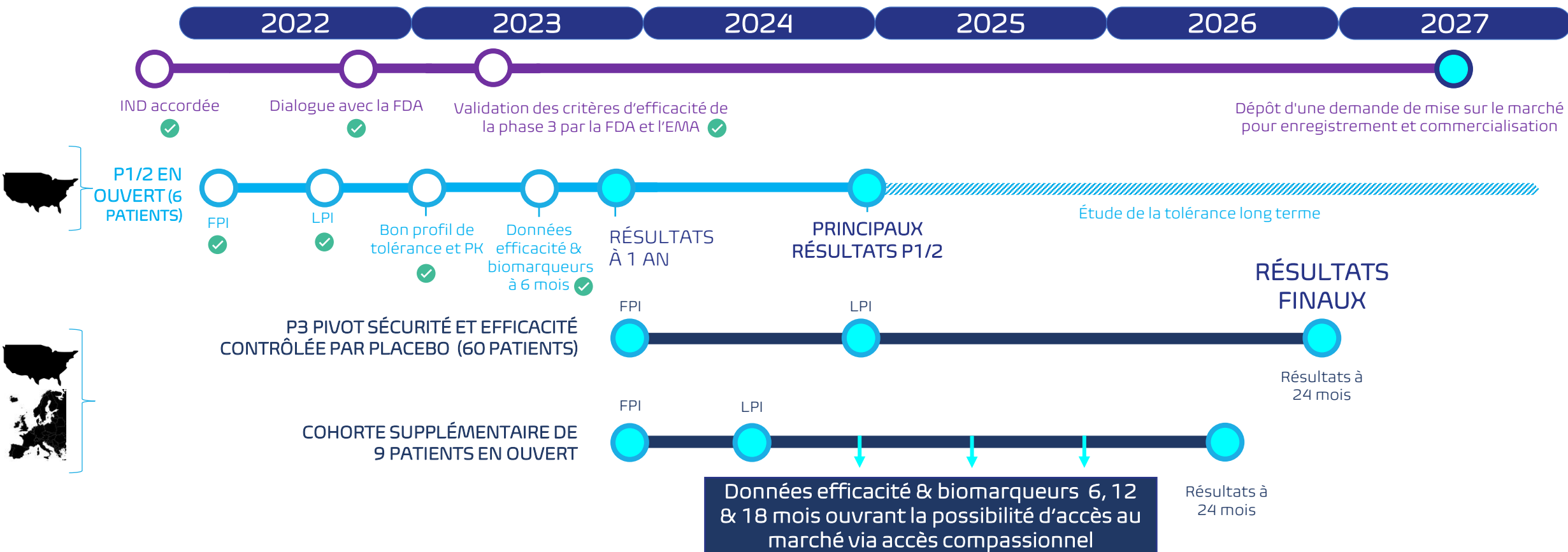


Fonctions motrices



Un design de P3 validé par la FDA et l'EMA, offrant un newsflow régulier jusqu' à l'enregistrement de Batten-1

# Plan de développement avec résultats de phase 3 d'ici fin 2026 suivis d'une autorisation de mise sur le marché



➤ Résultats finaux fin 2026 suivis d'une autorisation de mise sur le marché et commercialisation (notamment US & Europe)

# Batten-1 : développement d'une solution buvable propriétaire adaptée à la population de patients CLN3



Une solution buvable qui facilite la prise et la modulation du traitement

- Solution buvable :
  - ▶ Convient aux patients pédiatriques ainsi qu'aux patients présentant des difficultés de déglutition.
  - ▶ Haute concentration, permettant de traiter tous les patients, quels que soient leur âge et leur poids.
- Pipette graduée
  - ▶ Modulation fine de la dose, visant la meilleure tolérance possible grâce à une augmentation progressive en début de traitement.

Protégée par :

-1-

Brevets de méthode d'utilisation et de formulation déposés sur les principaux marchés (2021 et 2022)

-2-

Orphan Drug Designations accordées par la FDA (USA) et l'EMA (UE)

# Batten-1 : pic de ventes mondiales dépassant 500 millions de dollars par an

Estimations de marché obtenues par une étude indépendante commissionnée par Theranexus, démontrant une forte opportunité de marché

Un environnement de prix favorable dans le domaine des maladies rares

Territoires	Patients actuellement diagnostiqués / prévalence estimée <sup>4</sup>	Ventes basées sur les patients diagnostiqués (millions usd) <sup>1</sup>	Ventes basées sur les patients estimés (millions usd) <sup>1</sup>
États-Unis	750 <sup>2</sup> / 1 200	480	765
UE5 (Allemagne, France, Italie, Espagne, Royaume-Uni)	340 <sup>3</sup> / 500	50	75
Pays Nordiques	120 <sup>3</sup> / 180	15	20
<b>OPPORTUNITÉ DE MARCHÉ</b>		<b>545 millions de dollars</b>	<b>860 millions de dollars</b>

<sup>1</sup> : Estimation des prix sur la base d'entretiens avec des payeurs et des KOLs (source : rapport de Justin Stindt Consulting).  
<sup>2</sup> : Estimation de la population diagnostiquée sur la base des demandes de remboursement des assurances (source : DRG - rapport analytique Clarivate pour Theranexus).  
<sup>3</sup> : Estimation de la population diagnostiquée sur la base des données provenant des rapports de sortie d'hôpital (rapport RW Health pour Theranexus).  
<sup>4</sup> : Estimations basées sur l'analyse de la littérature (DRG - rapport analytique Clarivate pour Theranexus ; rapport RW Health pour Theranexus)



Produit (société)	Pop. cible (7MM <sup>1</sup> )	Prix annuels US <sup>2</sup>
Zavesca (J&J)	1 950	653k US\$
Brineura (Biomarin)	550	795k US\$
Procysbi (Horizon)	1 250	1 074k US\$
Xenpozyme (Sanofi)	~100	1 949k US\$

<sup>1</sup> : 7 Major Markets  
<sup>2</sup> : prix du médicament par patient aux Etats-Unis ; source GlobalData: Drug Pricing Intelligence (POLI) Database

---

# Éléments financiers

---

THERANEXUS 

# Cotation et actionnariat

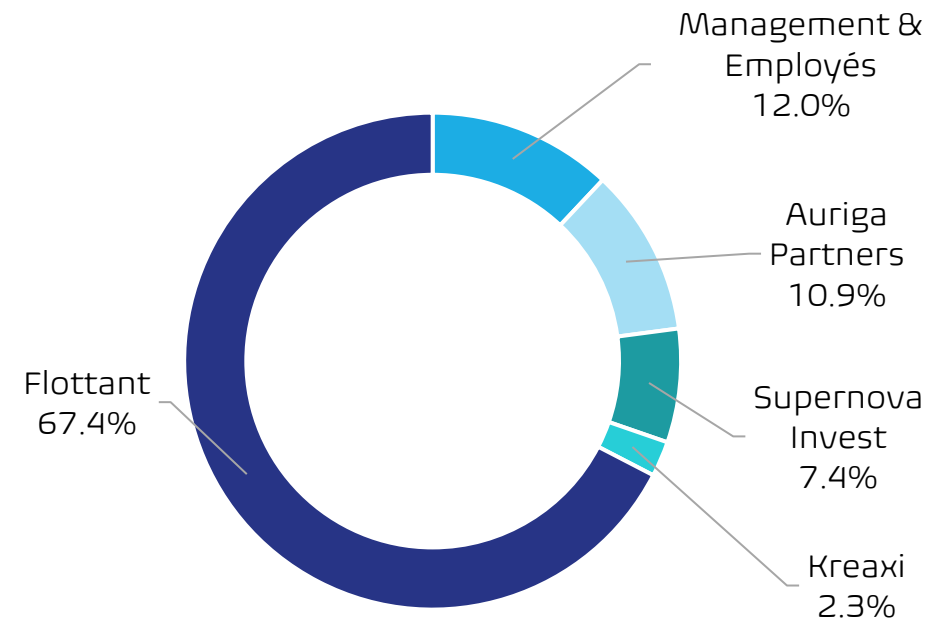
## Données financières

- ISIN : FR0013286259 - Mnémo : ALTHX
- Marché : Euronext Growth
- Cours de l'action au 8 Juin 2023 : 1,94 €.
- Capitalisation boursière : 10,4 millions d'euros
- Couverture : ODDO BHF, Portzamparc
- Contrat de liquidité : Portzamparc



## Structure du capital

Nombre d'actions : 5 346 213



# Compte de résultat simplifié

En K€ (normes françaises)	2022	2021
Produit d'exploitation	1 246	25
Autres achats et charges externes	3 967	5 591
Salaires et charges sociales	3 165	2 689
Dotation aux amortissements et immobilisation	332	1 204
Autres charges	39	53
<b>Résultat d'exploitation</b>	<b>(6 257)</b>	<b>(9 512)</b>
Résultat financier	(158)	(396)
Charges exceptionnelles	(771)	-
Impôt sur les bénéfices	619	1 758
<b>Résultat net</b>	<b>(6 567)</b>	<b>(8 150)</b>

Trésorerie au 31 mars 2023 : 7 300 K€



# Theranexus : une forte opportunité de création de valeur pour les investisseurs

Société biopharmaceutique innovante  
aux nombreux atouts

## Batten-1 :

- Un actif clinique **aux portes de la Phase 3** au mécanisme validé chez l'Homme
- Des résultats de Phase 1/2 encourageants, démontrant **des premiers signaux d'efficacité clinique**
- Un candidat médicament **First-to-market** avec une opportunité de marché de **plus de 500 M\$**

Une **plateforme de R&D** dédiée aux maladies rares neurologiques :

- S'appuyant sur des **collaborations scientifiques** de très haut niveau
- Avec **un nouveau candidat ASO en développement au second semestre 2023**

Un newsflow Batten-1 cadencé  
sur les 3 prochaines années



**S2 2023 et S2 2024**

Principaux résultats **Phase 1/2 à un et deux ans de traitement**



**2024 & 2025**

Données efficacité & biomarqueurs cohorte en ouvert à **6, 12, 18 & 24 mois**



**S2 2026**

Résultats Phase 3

# MERCI DE VOTRE ATTENTION !

Vos contacts :

**Mathieu Charvériat**  
Chief Executive Officer

[mathieu.charveriat@theranexus.com](mailto:mathieu.charveriat@theranexus.com) / mobile : + 33 6 63 01 19 19

**Thierry Lambert**  
Chief Financial Officer

[thierry.lambert@theranexus.com](mailto:thierry.lambert@theranexus.com) / mobile : +33 6 03 86 27 88

