

# THERANEXUS



Société biopharmaceutique innovante spécialisée dans le traitement  
des maladies neurologiques rares

**PRÉSENTATION INVESTISSEURS**

**Allinvest securities Biomed Forum, Paris**

3 février 2025

# 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 30 avril 2024 sous le numéro D.24-0382 (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.

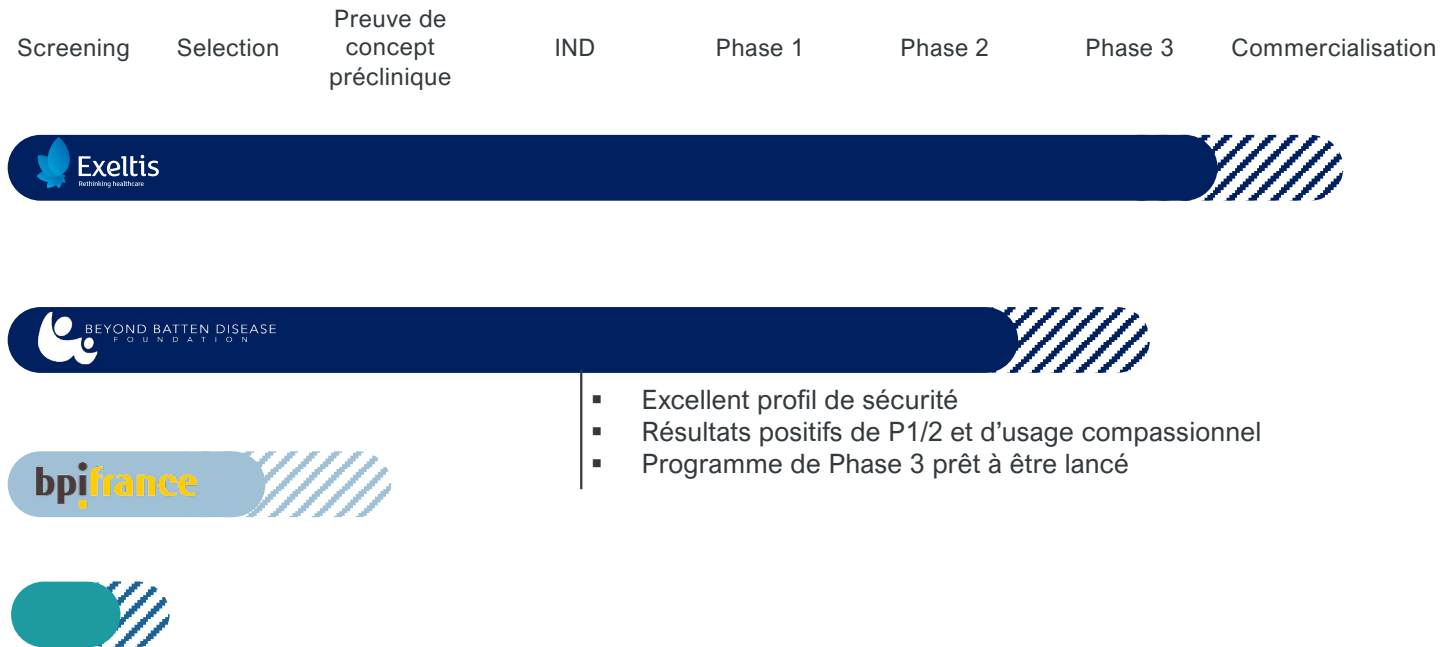
# Theranexus, une société innovante dédiée aux maladies rares neurologiques

**Maladie de Niemann Pick de type C (NPC) & maladie de Gaucher TX01**  
*Droits licenciés à Exeltis / Insud Pharma, notamment en Europe*

**Maladie de Batten juvénile (CLN3) Batten-1**  
*P1-2 positive ; plan d'étude de P3 validé par le FDA et l'EMA*

**Indication CNS non divulguée THN-ASO1 (TFEB)**  
*Candidat ; financement Bpifrance 4.7m€*

**Neuroinflammation THN-ASO2 (target under CDA)**  
*Criblage en cours*



**Une plateforme de R&D reposant sur  
 3 collaborations scientifiques**

**CEA**  
 Une plateforme conçue pour identifier des candidats médicaments potentiels en utilisant des modèles pathologiques de troubles neurologiques rares

**INSERM**  
 Identification d'oligonucléotides antisens dans les maladies rares

**AlstroSight**  
 Algorithmes d'apprentissage automatique pour la recherche de nouveaux candidats médicaments pour traiter les maladies neurologiques rares.

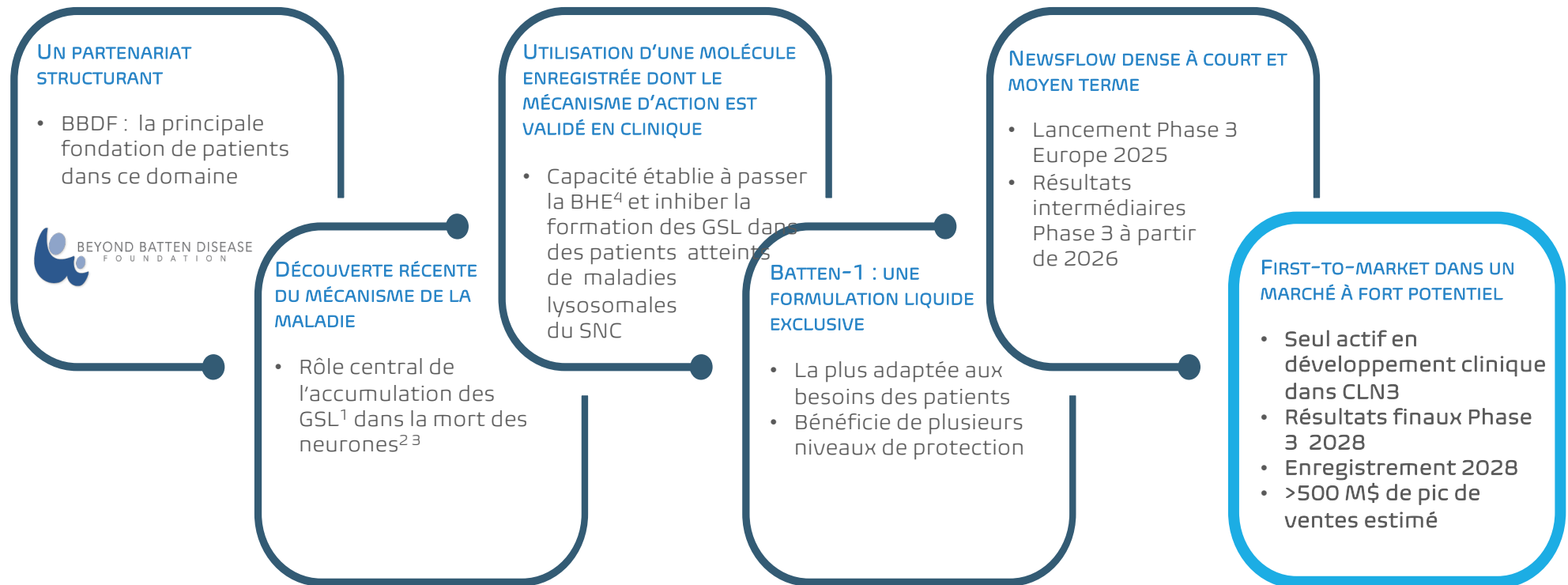
---

Batten-1,  
un actif clinique  
particulièrement  
attractif

---

THERANEXUS 

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



<sup>1</sup>Glycosphingolipides

<sup>2</sup>Travaux réalisés par le laboratoire d'Emyr Llyod Evans à l'université de Cardiff (financés par la Beyond Batten Disease foundation)

<sup>3</sup> Glycosphingolipid reduction with miglustat as a therapeutic strategy for CLN3 and other neuronal ceroid lipofuscinoses, Dr Emyr Lloyd-Evans, Cardiff University


<sup>4</sup>BHE = Barrière Hémato-Encephalique

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

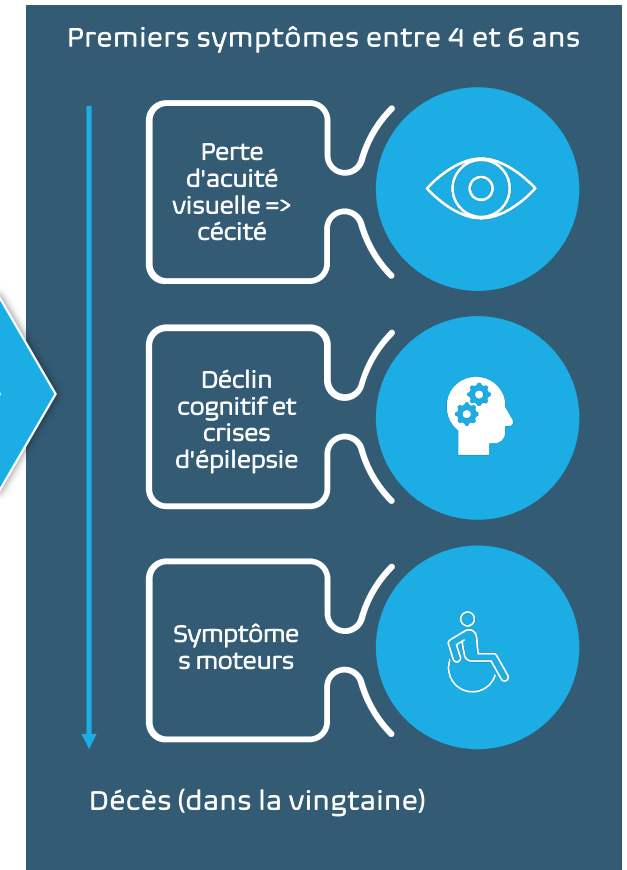
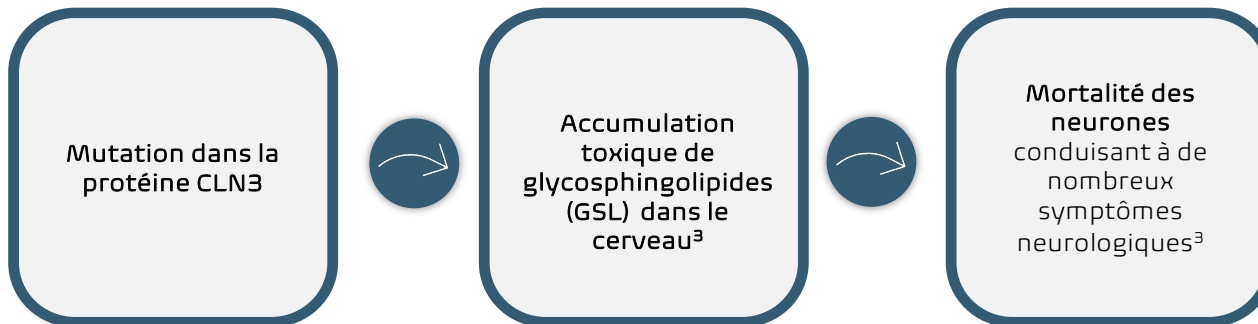
 700 à 1 000 patients aux USA<sup>1</sup>

 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 ?



# Des résultats cliniques de phase 1/2 encourageants après 18 mois de traitement



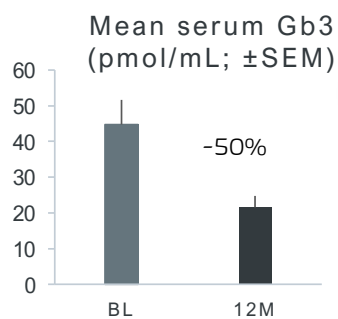
- **6 patients** atteints de la forme juvénile de la maladie de Batten, âgés de 17 ans et plus
- Etude conduite par des centres de référence de la maladie de Batten aux Etats-Unis
- Bon profil de tolérance et de pharmacocinétique conforme aux attentes



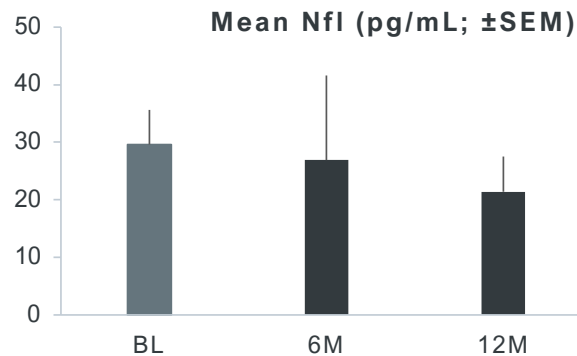
## Résultats finaux à 18 mois

- Diminution de la chaîne légère des neurofilaments (NFL), dans le sang et dans le liquide céphalo-rachidien des patients dosés
- Réduction des glycosphingolipides impliqués dans la pathologie (-50% sur Gb3) et dont l'accumulation est toxique dans les neurones, à 12 mois
- Pas de détérioration notable des symptômes moteurs, comparée à une aggravation estimée de manière linéaire dans une population non traitée<sup>12</sup>

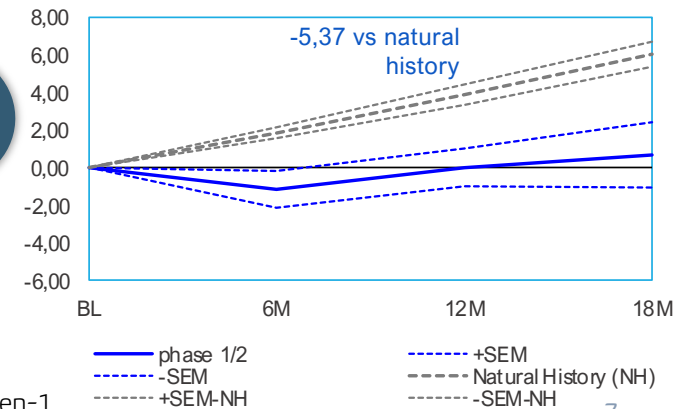
### Réduction des GSL impliqués dans la pathologie<sup>1</sup>



### Réduction des NfL, Biomarqueur de la mort neuronale<sup>1</sup>



### Pas de détérioration notable des symptômes moteurs<sup>12</sup>

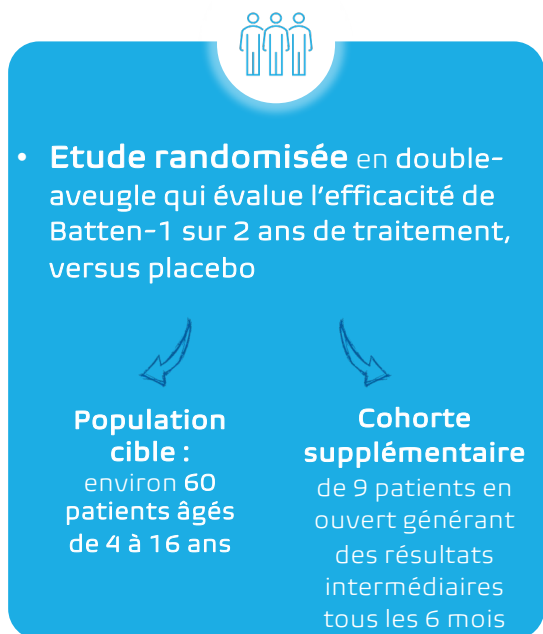


<sup>1</sup> Résultats intermédiaires après 12 mois de traitement dans le cadre de la phase 1/2 de Batten-1

<sup>2</sup> Kwon et al, 2011

# 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



**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

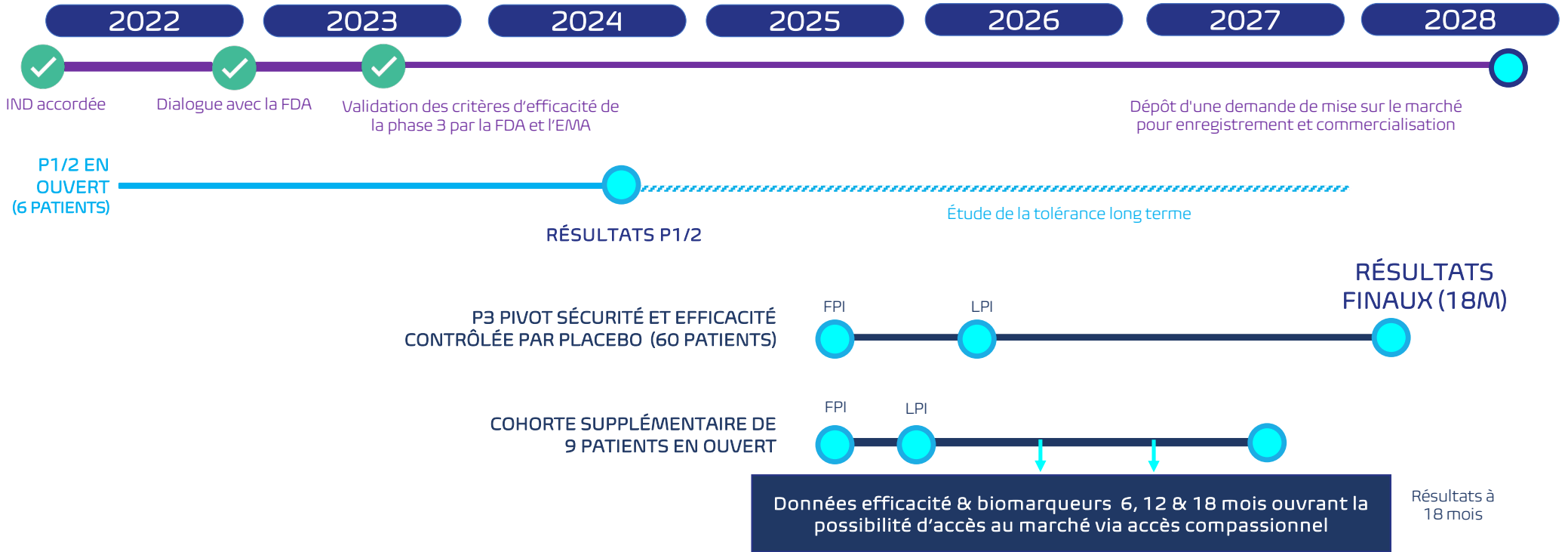


Fonctions motrices

➤ 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 2028 suivis d'une autorisation de mise sur le marché



➤ Résultats finaux 2028 suivis d'une autorisation de mise sur le marché et commercialisation (notamment US & Europe)

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

## Société biopharmaceutique innovante aux nombreux atouts

### TX01 :

- un actif licencié à la société Exeltis / Insud Pharma, prochainement commercialisé dans la maladie de NPC et la maladie de Gaucher
- adressant un marché de 200 m€<sup>1</sup>

### Batten-1 :

- Un actif clinique aux portes de la Phase 3 au mécanisme validé chez l'Homme
- Des résultats de Phase 1/ 2 très encourageants, démontrant des signaux d'efficacité clinique
- Un candidat médicament First-to-market avec une opportunité de marché de plus de 500 m€<sup>1</sup>

THN-ASO1 : un nouveau candidat ASO en développement, financé par Bpifrance, sur une cible innovante

## Un newsflow Batten-1 cadencé sur les 3 prochaines années



2025

Lancement de l'étude clinique pivotale de **Phase 3**



2026 & 2027

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



2028

Résultats Phase 3

---

# Éléments financiers

---

THERANEXUS 

# Cotation et actionnariat

---

## Données financières

- ISIN : FR0013286259 - Mnémo : ALTHX
- Marché : Euronext Growth
- Cours de l'action au 31 janvier 2025 : 0,56 €
- Capitalisation boursière : 4,5 millions d'euros
- Couverture : Portzamparc
- Contrat de liquidité : Portzamparc



## Compte de résultat simplifié

En K€ (normes françaises)	S1-2024	2023	S1-2023
<b>Produits d'exploitation</b>	<b>2 221</b>	<b>319</b>	<b>254</b>
Autres achats et charges externes	1 296	5 076	2 480
Salaires et charges sociales	1 072	2 599	1 520
Dotation aux amortissements et immobilisation	47	256	168
Autres charges	30	31	8
<b>Résultat d'exploitation</b>	<b>(226)</b>	<b>(7 644)</b>	<b>(3 921)</b>
Résultat financier	35	13	59
Charges exceptionnelles	0	0	0
Impôt sur les bénéfices	290	802	216
<b>Résultat net</b>	<b>101</b>	<b>(6 828)</b>	<b>(3 646)</b>

Trésorerie au 29 janvier 2025 : 4,0 M€

## Contacts

- Mathieu CHARVERIAT, Président-directeur général, [mathieu.charveriat@theranexus.com](mailto:mathieu.charveriat@theranexus.com)
- Christine PLACET, directrice administrative et financière, [christine.placet@theranexus.com](mailto:christine.placet@theranexus.com)