THERANEXUS

Société biopharmaceutique innovante spécialisée dans le traitement des maladies neurologiques rares

PRÉSENTATION INVESTISSEURS

Paris Spring MidCap Event

11 juin 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'acquérir 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 29 avril 2025 sous le numéro D.25-0350 (dont une copie est disponible sur le site internet de la Société – 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.

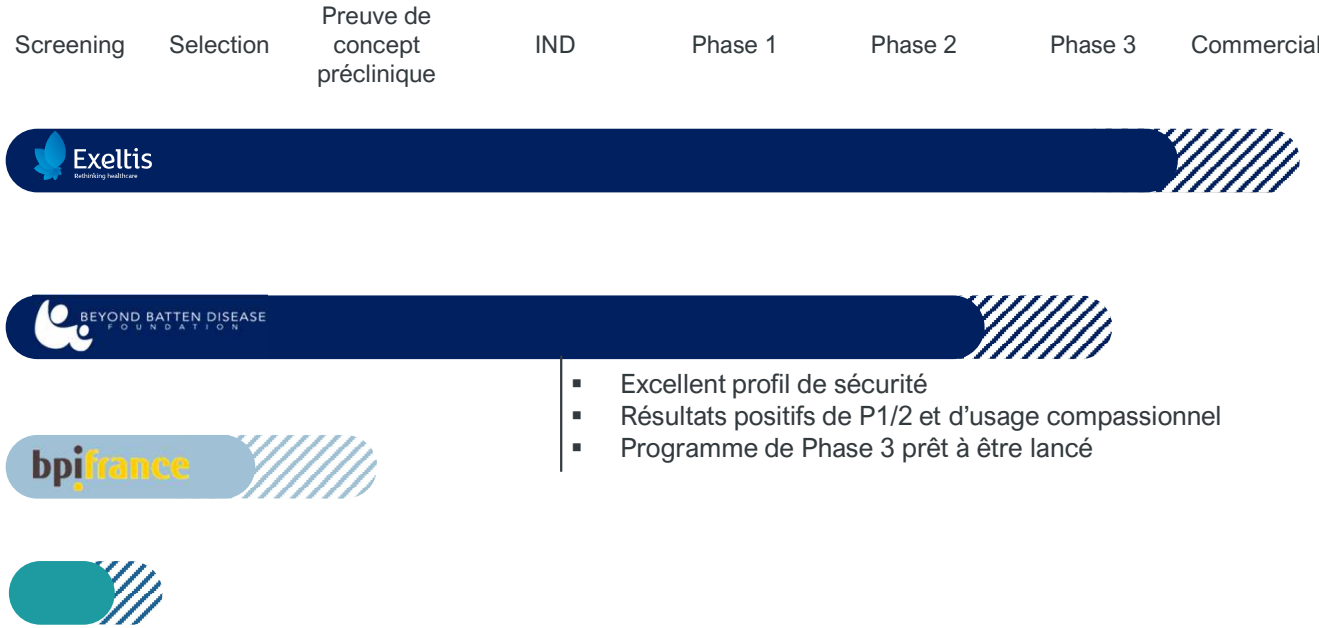
Theranexus, une société innovante dédiée aux maladies rares neurologiques

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

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

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

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



- Excellent profil de sécurité
- Résultats positifs de P1/2 et d'usage compassionnel
- Programme de Phase 3 prêt à être lancé

Une plateforme de R&D reposant sur

3 collaborations scientifiques

CEA	INSERM	AIstroSight
Une plateforme conçue pour identifier des candidats médicaments potentiels en utilisant des modèles pathologiques de troubles neurologiques rares	Identification d'oligonucléotides antisens dans les maladies rares	Algorithmes d'apprentissage automatique pour la recherche de nouveaux candidats médicaments pour traiter les maladies neurologiques rares.

THERANEXUS

[1] Oligonucléotide antisens

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[1] dans la mort des neurones[2 3]

Utilisation d'une molécule enregistrée dont le mécanisme d'action est validé en clinique

- Capacité établie à passer la BHE[4] 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 Europe 2025
- Résultats intermédiaires Phase 3 à partir de 2026

First-to-market dans un marché à fort potentiel

- Seul actif en développement clinique dans CLN3
- Résultats finaux Phase 3 2028
- Enregistrement 2028
- >500 M$ de pic de ventes estimé

[1]Glycosphingolipides
[2]Travaux réalisés par le laboratoire d'Emyr Llyod Evans à l'université de Cardiff (financés par la Beyond Batten Disease foundation)
[3] Glycosphingolipid reduction with miglustat as a therapeutic strategy for CLN3 and otherneuronal ceroid lipofuscinoses, Dr Emyr Lloyd-Evans, Cardiff University
[4]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[1]

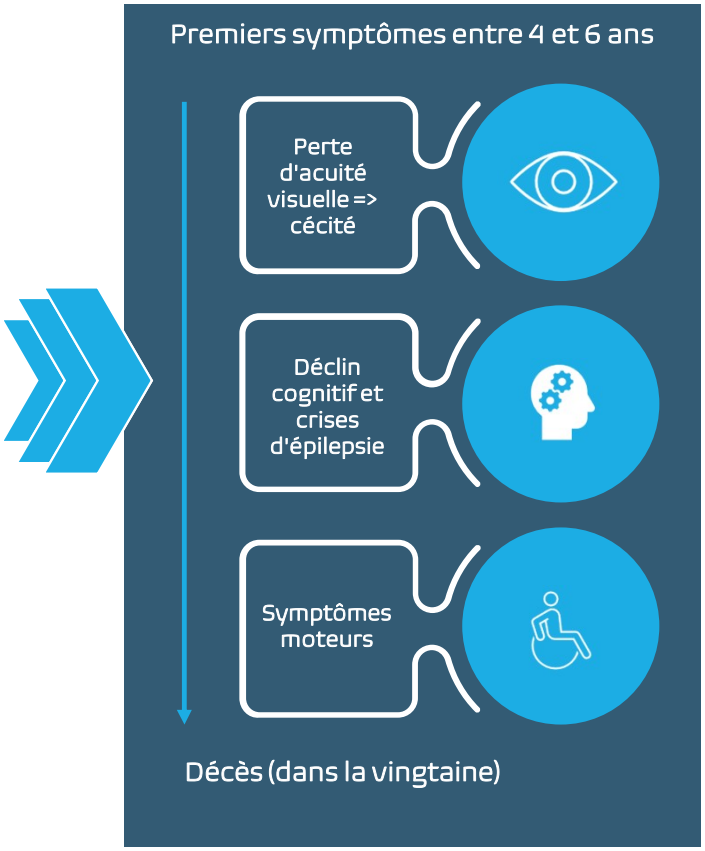
800 à 1 000 patients dans l'UE[2]

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 ?

Mutation dans la protéine CLN3 → Accumulation toxique de glycosphingolipides (GSL) dans le cerveau[3] → **Mortalité des neurones** conduisant à de nombreux symptômes neurologiques[3]



[1] Sur la base de données d'assurance (Decision Resources Group)
[2]: Données Orphanet
[3]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

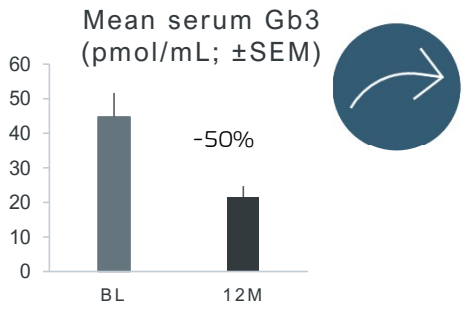
Des résultats cliniques de phase 1/2 encourageants après 18 mois de traitement

- **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

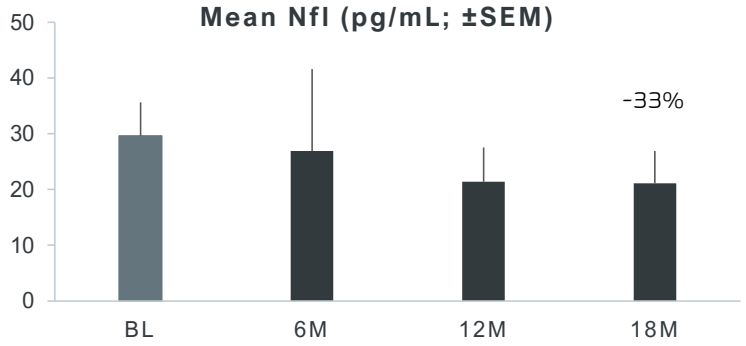
Résultats finaux à 18 mois

- **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[1][2]

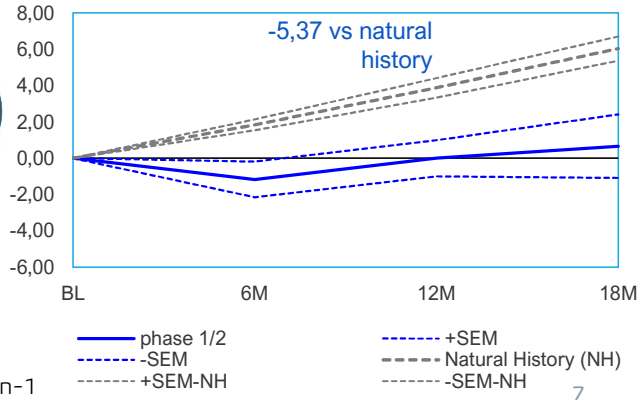
Réduction des GSL impliqués dans la pathologie[1]



Réduction des NfL, Biomarqueur de la mort neuronale[1]



Pas de détérioration notable des symptôme moteurs[1][2]



THERANEXUS

[1] Résultats intermédiaires après 12 mois de traitement dans le cadre de la phase 1/2 de Batten-1
[2] 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

- **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

Evaluée par :

- Une échelle quantitative de mesure en LogMar[1]
- Une échelle qualitative chez les patients les plus atteints, non évaluables quantitativement

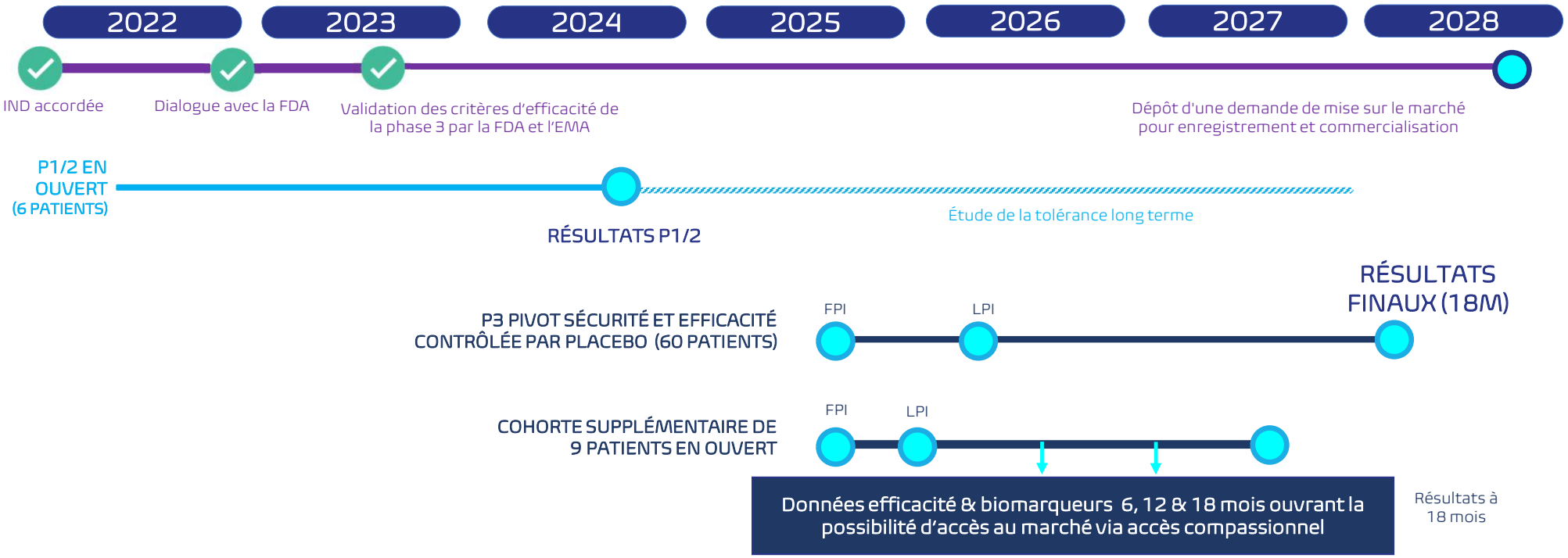
Critères secondaires :

- 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

[1]Le LogMAR (ou Log MAR) est une unité qui permet de quantifier l'acuité visuelle de manière à pouvoir effectuer des calculs statistiques comme la moyenne, l'écart type de l'acuité visuelle, etc.

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€ [1]

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€ [1]

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

THERANEXUS

1 Il s'agit d'estimations sur bases de comparables du secteur et prévalences connues des indications cibles

Eléments financiers

THERANEXUS

Cotation et actionnariat

Données financières

- ISIN : FR0013286259 - Mnémo : ALTHX
- Marché : Euronext Growth
- Cours de l'action au 9 juin 2025 : 0,926 €
- Capitalisation boursière : 8,7 millions d'euros
- Couverture : Portzamparc
- Contrat de liquidité : Portzamparc

Compte de résultat simplifié

En K€ (normes françaises)	2024	2023
Produits d'exploitation	**2 296**	**319**
Autres achats et charges externes	2 673	5 038
Salaires et charges sociales	2 091	2 599
Dotation aux amortissements et immobilisation	96	256
Autres charges	62	70
Résultat d'exploitation	**(2 626)**	**(7 644)**
Résultat financier	(7)	14
Résultat exceptionnel	100	0
Impôt sur les bénéfices	768	802
Résultat net	**(1 765)**	**(6 828)**

Trésorerie au 9 juin 2025 : 2,4 M€

Contacts

- Mathieu CHARVERIAT, Président-directeur général, mathieu.charveriat@theranexus.com

- Christine PLACET, directrice administrative et financière, christine.placet@theranexus.com