

Présentation investisseurs



MID & SMALL CAPS

MARDI 04 OCTOBRE 2022



PRÉSENTATION INVESTISSEURS

Septembre 2022

Agenda



01 Theranexus, spécialiste des maladies neurologiques rares

02 Batten-1: plan de développement et perspectives

Annexes

Intervenants



Franck MOUTHON

**Président-Directeur
Général**

Ecole Normale Supérieure (ENS-Ulm)
cursus sciences du vivant

Magistère interuniversitaire de
biologie ENS, Paris VI, VII et XI

Cours de virologie médicale de
l'Institut Pasteur

Programme d'entrepreneuriat HEC
Challenge +



Mathieu CHARVERIAT

**Directeur scientifique et
directeur général délégué**

Ecole Polytechnique et Ecole des
Mines de Paris

Docteur en Neurosciences et Biologie
Cellulaire de l'Institut Pierre et Marie
Curie.

Programme Challenge + d'HEC



Thierry LAMBERT

**Directeur administratif et
financier**

Business Administration de l'université
de Birmingham

MBA (Master of Business
Administration) de l'INSEAD

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

01

Theranexus, spécialiste des
maladies rares neurologiques



01 Une stratégie centrée sur les maladies rares neurologiques



Plus de 5 000 maladies rares touchant près de 350 millions de personnes
80% sont à expression neurologique



Absence de traitement pour la majorité des indications et de forts besoins médicaux insatisfaits



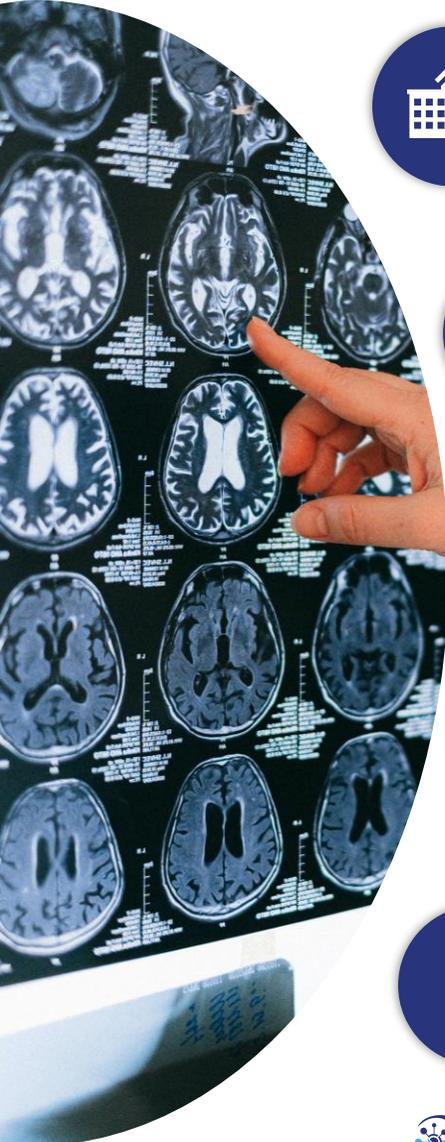
Des mécanismes biologiques de mieux en mieux compris, déterminants pour développer des thérapies à fort bénéfice sur la vie des patients



Cadre réglementaire incitatif de développement et d'exploitation, et un accès au marché accéléré



Le marché mondial du traitement des maladies neurologiques rares va doubler en taille entre 2019 et 2027



Sources: The Lancet Neurology, 2011; Reinhard et al, Front. Neurol., 2014; Schule et al, Eur. J. Hum. Gen., 2021, Orphanet, NORD, EURORDIS

01 Nos atouts



UN PREMIER CANDIDAT
MEDICAMENT EN CLINIQUE

Un actif clé
dans une maladie rare
qui est entré en développement
clinique chez les patients



UNE EXPERTISE
RECONNUE

Une évolution de notre plateforme vers la
modélisation des maladies neurologiques rares,
bénéficiant de notre expertise unique des interactions
neurogliales



UNE PLATEFORME
UNIQUE



Une focalisation sur le développement de thérapies innovantes dans les maladies neurologiques rares, ciblant les mécanismes biologiques, pour changer radicalement la vie des patients

01 Ambitions de notre plateforme de R&D

Une expertise solide :

- Un savoir-faire dans la modélisation des interactions neurones-glie
- La maîtrise des outils moléculaires pour modéliser rapidement des pathologies neurologiques rares dont les déterminants biologiques sont connus
- Une modélisation validée dans différentes indications (Niemann-Pick type C, maladie de Batten, syndrome d'Angelman, syndrome de Rett, maladie de Gaucher, maladie de Krabbe, etc.)



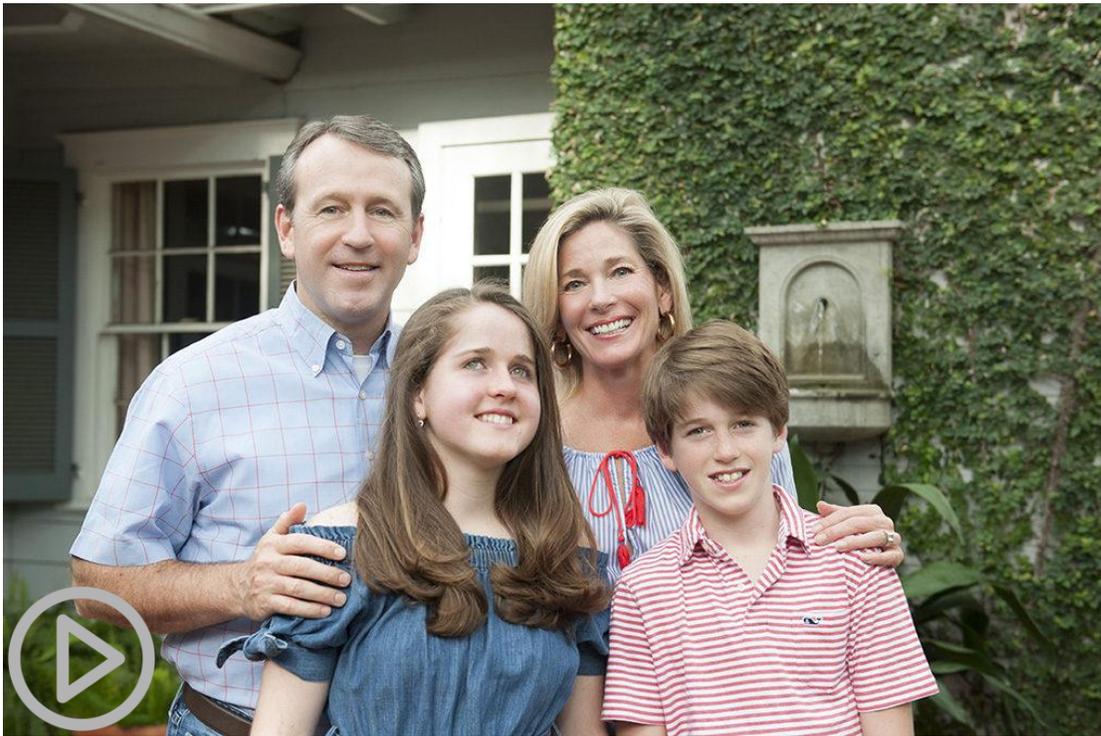
Ambition : un premier médicament de thérapie innovante en développement préclinique d'ici fin 2023

02

Batten-1:
Plan de développement
et perspectives



Un 1^{er} candidat-médicament en partenariat avec la Beyond Batten Disease Foundation (BBDF)



Présentation de la Beyond Batten Disease Foundation par Craig Benson (fondateur)



Créée en 2008, BBDF est la plus importante des fondations dédiées au financement de la recherche pour traiter et guérir la maladie juvénile de Batten (CLN3)



Plus de 35 millions de dollars investis dans plus de 40 projets de recherche pour aboutir à la découverte de Batten-1



Licence globale BBDF => Theranexus en charge du développement ainsi que de la PI afférente



Theranexus exploite et reverse à BBDF redevances + paiements d'étape (liés à la commercialisation)

02 La forme juvénile de la maladie de Batten (CLN3) en résumé



700-1.000 patients aux Etats-Unis¹
800 – 1.000 patients dans l'UE²



Autosomique récessif
Effet fondateur localisé dans les pays nordiques



Pas de traitement enregistré



Diagnostic chez
les enfants
âgés de 4 à 8 ans



Perte d'acuité
visuelle
conduisant
à la cécité
6-10 ans



Déclin cognitif et
crises d'épilepsie
12-20 ans



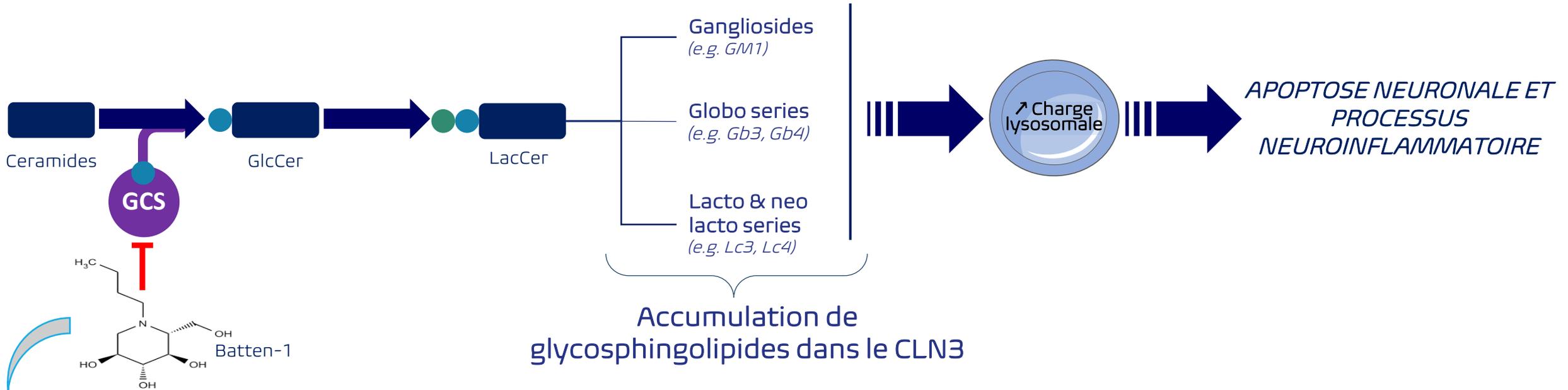
Symptômes
moteurs avant 20
ans
Les patients
décèdent dans
leur vingtaine

L'absence de CLN3 entraîne l'accumulation de dépôts toxiques composés de glycosphingolipides et entraînant la mort neuronale



- Commercialiser d'ici 2026 le 1er traitement dans la maladie de Batten :
- ralentissant très fortement la progression de la maladie
 - bénéficiant d'une formulation adaptée à la population de patients

02 Batten-1 dans CLN3 : un rationnel moléculaire solide



Batten-1 (miglustat) est un inhibiteur de la glucosylcéramide une enzyme clé en amont de la synthèse de la plupart des synthase (GCS), glycosphingolipides

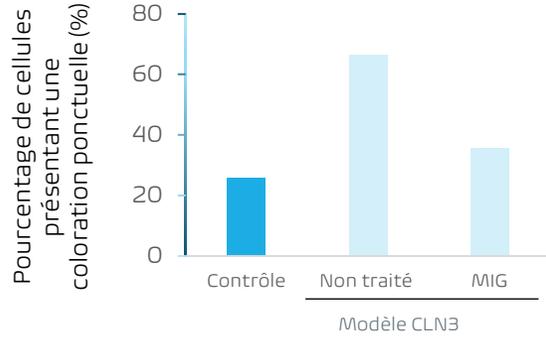
Batten-1, par son effet direct sur la synthèse des glycosphingolipides (GM1, Gb4), bloque la neuro-inflammation et prévient la mort cellulaire dans la maladie de Batten

02

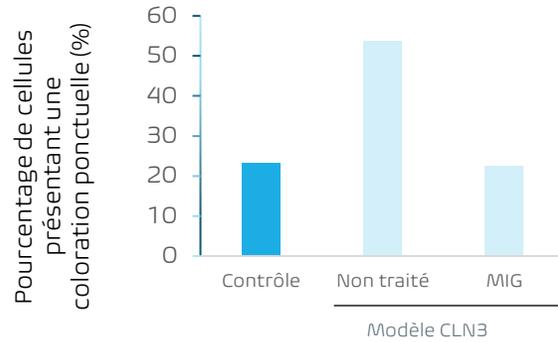
Effets de Batten-1 sur des modèles de la maladie de Batten

Résultats modèles in vitro

Ganglioside GM1

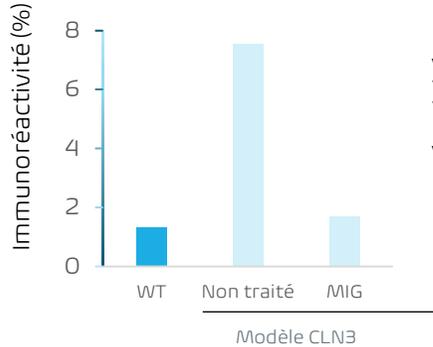


Globoside Gb4

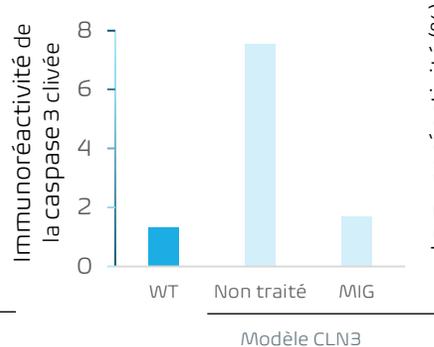


Résultats Modèles in vivo

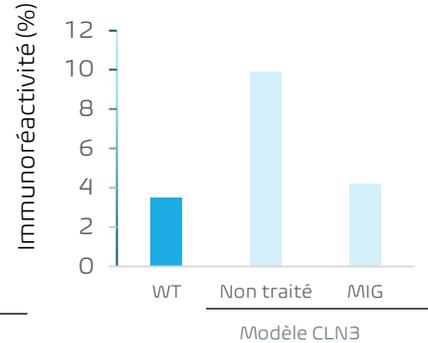
Microgliose



Astrogliose



Apoptose (mort cellulaire)



Le miglustat, ingrédient actif de Batten-1:

- Normalise les niveaux de glycosphingolipides
- Prévient notamment l'apoptose – mort des cellules dans le cerveau



Ambition de Batten-1 : ralentir très fortement la progression de la maladie

02 Batten-1: développement d'une solution buvable propriétaire adaptée aux enfants

- **Batten-1 : une solution propriétaire de miglustat pour traiter la maladie de Batten juvénile (CLN3)**
 - Pathologie diagnostiquée mais non traitée aujourd'hui
 - Premier traitement pour cette pathologie
- **Une solution buvable facilitant la prise et la modulation du traitement**
 - Solution buvable, adaptée à une population pédiatrique et aux patients souffrant de troubles de la déglutition
 - Pipette graduée => modulation fine de la dose, permettant la meilleure tolérance possible lors de la montée progressive en dose au début du traitement



02 Recrutement complété pour l'étude de phase I/II

- Un jalon important posé avec l'inclusion du dernier patient de l'étude de phase I/II

∨
Cohorte de 6 patients



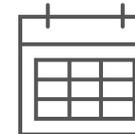
-
- ▶ Atteints par la forme juvénile de la maladie de Batten, âgés de 17 ans ou plus

∨
Étude conduite par 3 centres de référence de la maladie aux USA



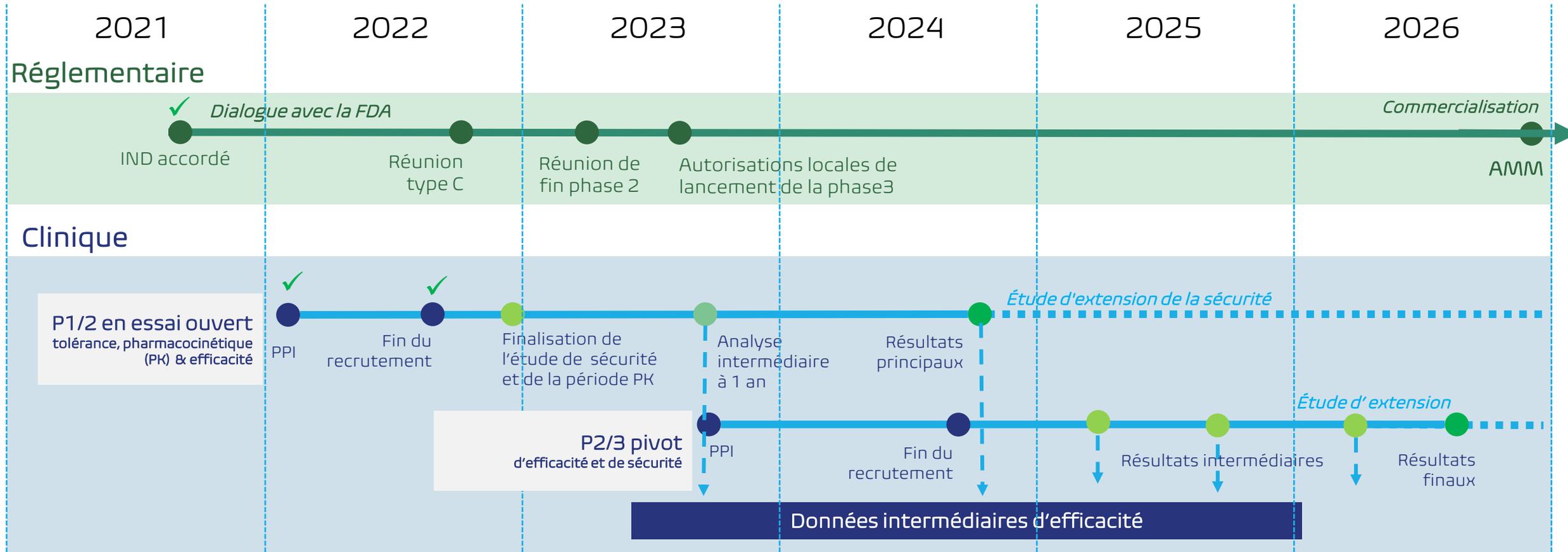
-
- ▶ Investigateur principal : Gary Clark, Directeur du centre de neurologie pédiatrique, Texas Children's Hospital, Houston

∨
Évaluation des patients sur une durée de 24 mois au total



-
- ▶ 1^{ères} données précoces de tolérance et de pharmacocinétique du miglustat obtenues après 9 mois de traitement permettant d'initier la phase III

02 Un plan de développement avec l'ambition d'une commercialisation d'ici 2026



Une étude de Phase 1/2 en cours :

- Génération des données de tolérance au miglustat nécessaires à l'entrée en phase pivot 2/3 de Batten-1
- Génération de données (efficacité et sécurité) sur 24 mois

Une étude de phase pivot 2/3, US/EU, permettant l'enregistrement :

- Menée sur environ 60 patients
- En double aveugle contre placebo et histoire naturelle

02 Un environnement concurrentiel attractif et de fortes opportunités de marché

- Partenariat déjà en place avec BBDF
- Nombre limité de praticiens traitant les patients CLN3, dont beaucoup participent à l'étude
- Pas de traitement concurrent
- Enregistrement accéléré

- Désignation orpheline obtenue auprès de la FDA (7 ans d'exclusivité) et de l'EMA (10 ans d'exclusivité)
- Protection brevetaire couvrant a minima jusqu'en 2037
- Nouvelle formulation propriétaire buvable adaptée aux besoins des patients

Deux autres actifs en développement clinique :

- Polaryx – étude clinique inactive depuis 2 ans ¹
- Amicus², - devra faire l'objet d'un nouveau développement préclinique

Accès
au marché
facilité

Haut niveau
de protection

- Besoin d'une force de vente et d'une structure opérationnelle limitées
- Démarrage rapide des ventes
- Possibilité d'accès précoce

Batten-1
en première ligne
des développements

Commercialisation en
propre possible sur les
principaux territoires

THERANEXUS 

02 Batten-1: un pic de ventes estimé autour de 500 M€

Territoires	Est. N patients	Est. pic de ventes (Mn EUR) ¹
Etats-Unis	~600 ³	350 M€
UES (Allemagne , France, Italie, Espagne, Royaume-Uni)	~300 ⁴	100 M€
Pays Nordiques	~100 ⁴	50 M€
OPPORTUNITÉ DE MARCHÉ AU PIC		~ 500 M€

1: Pic de ventes calculé sur la base du prix départ-usine actuel de [Zavesca® en NPC](#), dose moyenne de Batten-1 de 400 mg / jour / patient **et sur le** prix d'usine pour [Brineura® dans CLN2](#), (source IHS Markit)

3: Estimation de la population diagnostiquée sur la base des demandes de remboursement des assurances pour la lipofuscinose céréoïde neuronale (NCL) (code ICD-10 : E75.4) et avec un âge au moment du diagnostic entre 8 et 15 ans ; suppose une pénétration du marché de 80% au pic (source DRG - rapport analytique Clarivate pour Theranexus).

4 : Estimation de la population diagnostiquée sur la base de données tirées de la littérature ; suppose une pénétration du marché de 80 % au pic.

Annexes



Une situation financière solide



Trésorerie au 30/06/22
11 600 K€



CIR 2021 + PSPC
Neurolead à recevoir :
3,3 M€



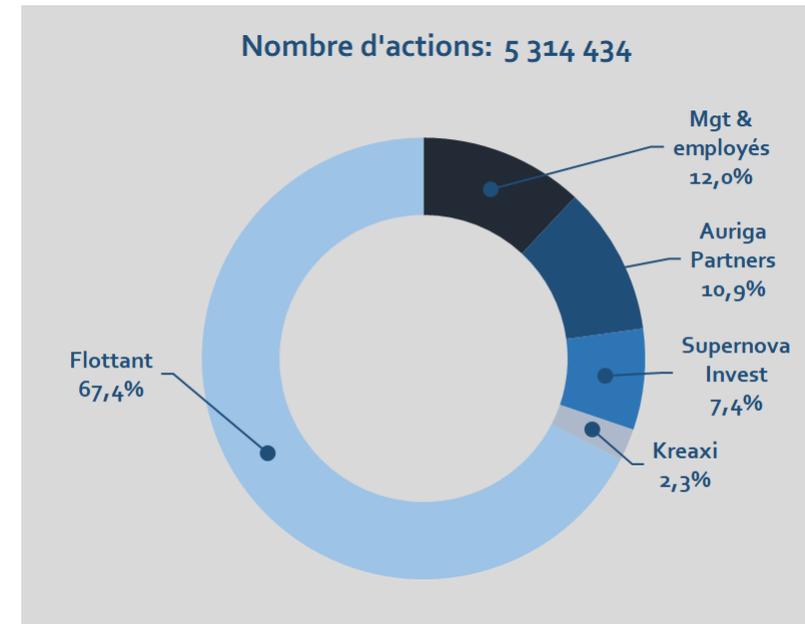
Ligne de financement
en fonds propres
arrêtée définitivement

Cotation et Actionnariat

Données financières

- ISIN : FR0013286259 - Mnemo: ALTHX
- Marché : Euronext Growth
- Cours de l'action au 20 septembre 2022 : 1,69 €
- Capitalisation boursière : 8,9 M€
- Couvertures : ODDO BHF, Portzamparc
- Contrat de liquidité : Portzamparc

Structure du capital



Compte de résultat simplifié

Des dépenses maîtrisées

En K€ (normes françaises)	S1 2022	S1 2021
Produits d'exploitation	462	12
Autres achats et charges externes	1 950	2 944
Salaires et charges sociales	1 509	1 388
Dotations aux amortissements sur immobilisations*	166	195
Autres charges	24	34
Résultat d'exploitation	(3 187)	(4 550)
Résultat financier	(121)	(112)
Impôt sur les bénéfices	18	939
Résultat net	(3 290)	(3 723)

Trésorerie au 30/06/22 : 11 600 K€