

Theranexus

Société biopharmaceutique innovante spécialisée dans le traitement
des maladies neurologiques rares

PRÉSENTATION INVESTISSEURS

CONFERENCE INVESTOR ACCESS

15 Octobre 2024

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). 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.

Speaker



Mathieu CHARVERIAT

CEO & Co-fondateur

Ecole Polytechnique et Mines Paris-Tech

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

Programme HEC Challenge +

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



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

Plateforme R&D	INSERM	AlstroSight
Plateforme d'identification de candidats médicaments sur la base de modèles pathologiques de maladies neurologiques rares	Identification de candidats médicaments de thérapies innovantes (ASO ¹) dans les maladies neurologiques rares	Méthodes numériques innovantes pour la recherche de nouveaux candidats médicaments pour traiter des maladies neurologiques rares

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 GSL¹ 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 BHE⁴ 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 finaux P1/2 mi-2024
- 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 2027
- Enregistrement 2028
- >500 M\$ de pic de ventes estimé

¹Glycosphingolipides

²Travaux 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 other neuronal ceroid lipofuscinoses, Dr Emyr Lloyd-Evans, Cardiff University

⁴BHE = Barrière Hémato-Encephalique

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

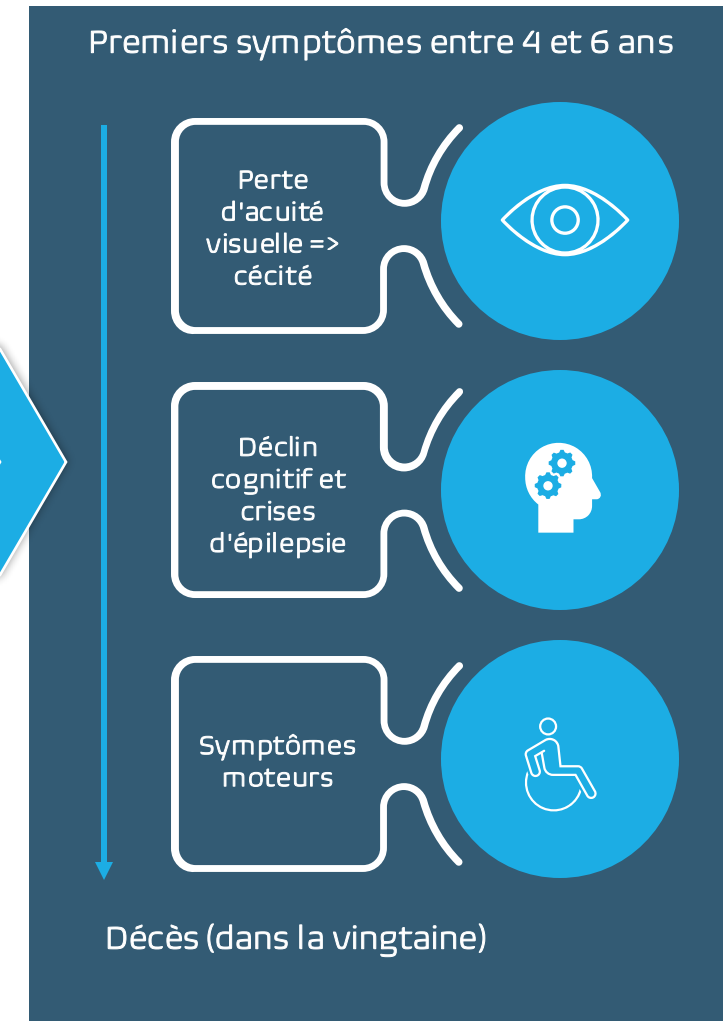
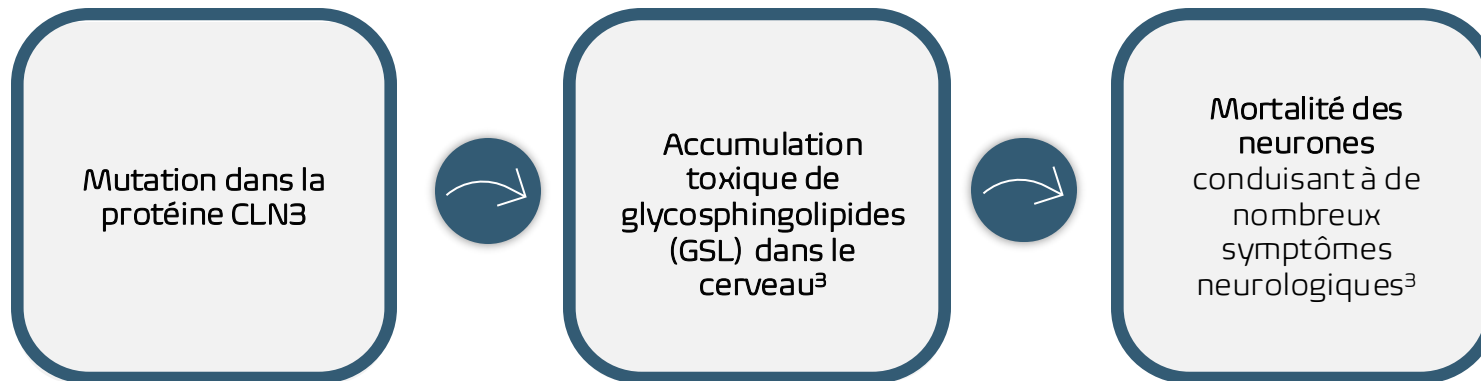
 700 à 1 000 patients aux USA¹

 800 à 1 000 patients dans l'UE²

 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



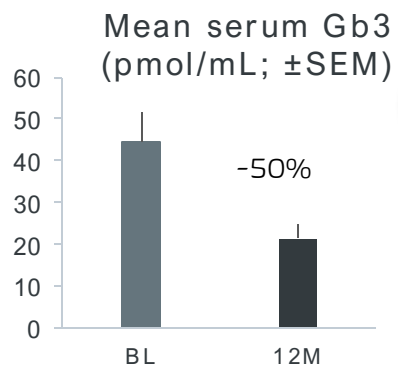
- **6 patients** atteints de la forme juvénile de la maladie de Batten, âgés de 17 ans et plus
- Etude conduite par des centres de référence de la maladie de Batten aux Etats-Unis
- Bon profil de tolérance et de pharmacocinétique conforme aux attentes



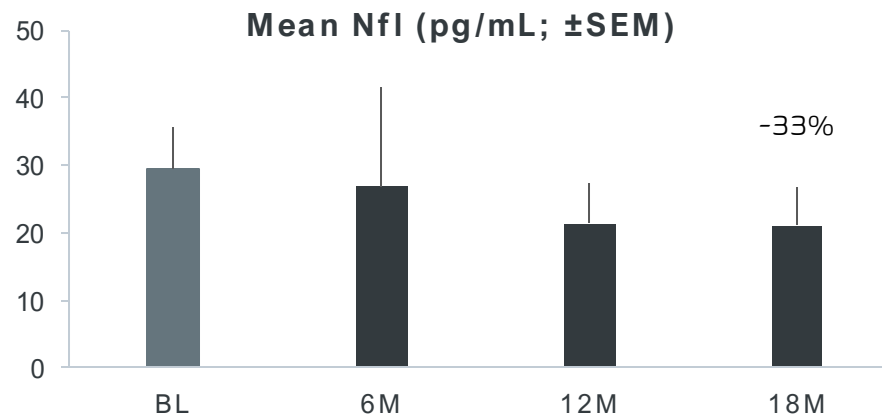
Résultats finaux à 18 mois

- 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 traitée¹²

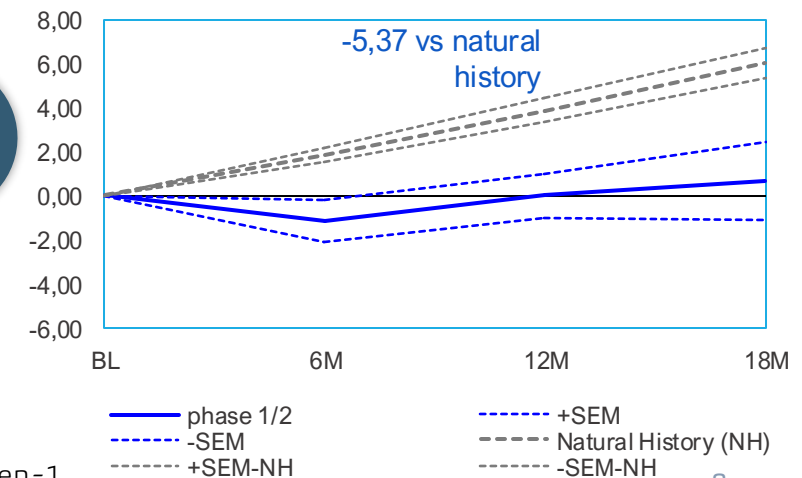
Réduction des GSL impliqués dans la pathologie¹



Réduction des NfL, Biomarqueur de la mort neuronale¹

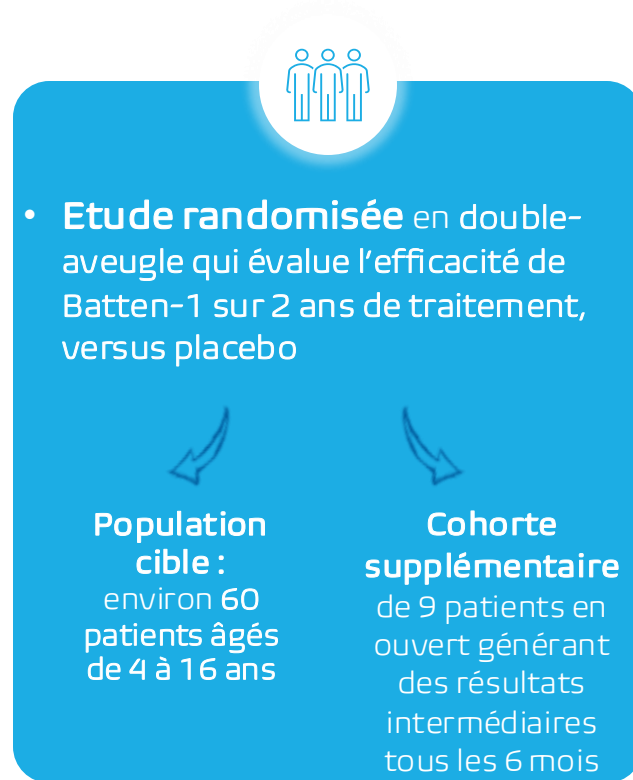


Pas de détérioration notable des symptômes moteurs¹²



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 LogMar¹
- Une échelle qualitative chez les patients les plus atteints, non évaluables quantitativement

Critères secondaires :



Fonctions cognitives

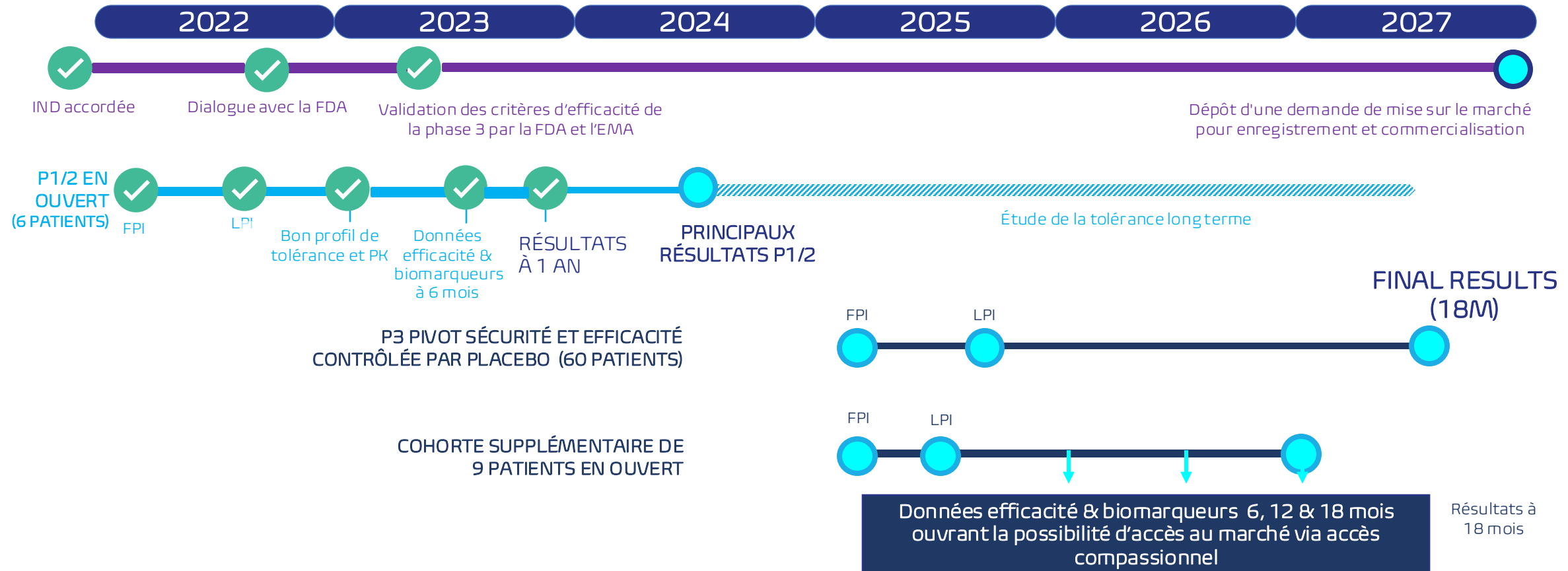


Fonctions motrices



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 2027 suivis d'une autorisation de mise sur le marché



➤ Résultats finaux 2027 suivis d'une autorisation de mise sur le marché et commercialisation (notamment US & Europe)

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

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



Produit (société)	Pop. cible (7MM ¹)	Prix annuels US ²
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\$

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

Éléments financiers



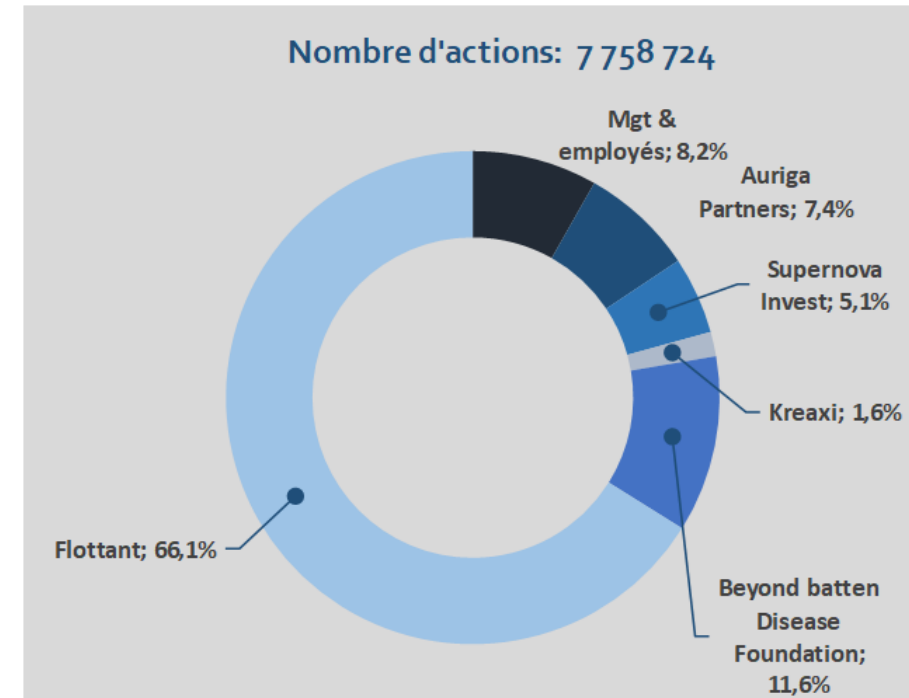
Cotation et actionnariat

Données financières

- ISIN : FR0013286259 - Mnémo : ALTHX
- Marché : Euronext Growth
- Cours de l'action au 10 octobre: 0,52 €
- Capitalisation boursière : 4 millions d'euros
- Couverture : Portzamparc
- Contrat de liquidité : Portzamparc



Structure du capital



Compte de résultat simplifié

En K€ (normes françaises)	S1-2024	2023	S1-2023	2022
Produits d'exploitation	2 221	319	254	1 245
Autres achats et charges externes	1 296	5 076	2 480	3 967
Salaires et charges sociales	1 072	2 599	1 520	3 165
Dotation aux amortissements et immobilisation	47	256	168	332
Autres charges	30	31	8	39
Résultat d'exploitation	(226)	(7 644)	(3 921)	(6 257)
Résultat financier	35	13	59	(158)
Charges exceptionnelles	0	0	0	(771)
Impôt sur les bénéfices	290	802	216	619
Résultat net	101	(6 828)	(3 646)	(6 567)

Trésorerie au 30 juin 2024: 1,754 M€

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 très encourageants, démontrant **des 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 prochainement**

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**



S2 2027

Résultats Phase 3