



Lettre aux Actionnaires

Lyon, le 9 janvier 2025,

Chers Actionnaires,

En ce début d'année 2025, je tiens à vous remercier chaleureusement pour votre confiance et votre engagement constant envers Theranexus. L'année 2024 a été marquée par des avancées significatives, fruit de notre vision commune et de l'engagement sans faille de nos équipes. J'aimerais les synthétiser aujourd'hui et vous livrer nos perspectives pour 2025.

Un premier partenariat industriel dans deux maladies rares neurologiques pour le médicament TX01

Notre partenariat industriel, avec le groupe Insud Pharma / Exeltis, marque un tournant majeur pour notre société. Il porte l'ambition de commercialiser notre candidat médicament TX01, dans deux maladies neurologiques, la maladie de Niemann-Pick de type C et la maladie de Gaucher ; nous adressons, grâce à une nouvelle formulation innovante adaptée aux besoins d'environ 2.000 patients dans le monde, un marché de près de 200 M€. Cet accord, illustre la capacité de nos équipes à concevoir et développer des candidats médicaments à fort potentiel médical et économique. Cette première validation industrielle et la préparation de l'entrée sur le marché de notre premier médicament constituent une nouvelle étape majeure dans la maturité du parcours industriel de Theranexus.

Le développement de TX01 est intégralement couvert par le paiement d'avance de 2 M€ accordé par Insud Pharma / Exeltis dans le cadre de notre accord de licence. La demande d'autorisation de mise sur le marché en Europe devrait être déposée d'ici la fin de l'année 2025, d'autres territoires pourront suivre ultérieurement.

Des avancées majeures dans le développement de notre candidat médicament Batten-1 dans la maladie de Batten

Theranexus, en partenariat avec la Fondation Beyond Batten Disease (BBDF), développe le candidat médicament Batten-1, dans la forme juvénile de la maladie de Batten (forme dite « CLN3 »). En 2024, nous avons démontré, et publié, le profil de sécurité solide de Batten-1 chez les patients atteints de CLN3, et mis en exergue les données d'efficacité positives recueillies pendant cet essai de phase 1/2. Les résultats démontrent une activation claire de la cible, un effet biologique et suggèrent une stabilisation de la progression de la maladie au cours de la période de traitement. De plus, les rapports d'autres patients traités en usage compassionnel renforcent son potentiel en tant que traitement modificateur de la maladie et suggèrent une possible stabilisation de l'acuité visuelle, une fonction gravement impactée dans la maladie de Batten CLN3. Nous avons également validé le plan d'étude de notre phase 3 auprès des autorités réglementaires américaine (FDA) et européenne (EMA).

Cette phase 3 nécessite de mobiliser un financement de 10 M€. Nous continuons d'explorer, notamment par un accord industriel, toutes les voies possibles pour lancer cette étude dans le courant de l'année 2025.

Un nouveau candidat médicament issu de notre plateforme d'oligonucléotides anti-sens

La société a identifié, optimisé et protégé un nouvel oligonucléotide anti-sens, un candidat médicament innovant ciblant TFEB, la protéine reconnue comme contrôlant l'autophagie, pour les patients atteints de maladies rares neurologiques, notamment lysosomales. Fort de ce projet, la société, avec ses deux partenaires INSERM et Diverchim, a monté le consortium PickASO, qui est supporté par un financement de Bpifrance d'un montant total de 4.7 M€, pour développer son candidat médicament jusqu'à son entrée en développement clinique. Le candidat médicament a également bénéficié du soutien financier de la Région Auvergne-Rhône-Alpes, en collaboration avec le Centre de Recherche en Neurosciences de Lyon et le CERMEP, à hauteur de 320 K€.

Le renforcement de notre position financière

La société a continué de gérer de façon rigoureuse ses dépenses, et mis en place une ligne de financement avec notre partenaire Iris. En outre, nous avons bénéficié du soutien de tous nos partenaires bancaires, dont Bpifrance, qui ont accordé récemment un différé de remboursement de 21 mois de la dette bancaire de la société. Ces mesures, combinées à l'exécution réussie du contrat avec Exeltis, nous assurent une visibilité financière jusqu'au premier trimestre 2026. Ce bilan et ces perspectives reposent sur notre capacité à innover, notre rigueur scientifique et le soutien indéfectible de nos partenaires et actionnaires.

Au nom de nos équipes, je vous remercie pour votre confiance et votre accompagnement dans cette aventure exceptionnelle. Ensemble, nous continuerons à construire un avenir prometteur pour Theranexus.

Avec toute ma considération,

Mathieu Charvériat
Président-directeur général de Theranexus