

Theranexus

PRÉSENTATION INVESTISSEURS

Sachs Life Sciences Forum
8-9 mars 2023

Avertissement

Le présent document contient des déclarations prospectives relatives Theranexus et à ses activités, y compris ses perspectives et le développement de ses produits. Theranexus estime que ces déclarations prospectives reposent sur des hypothèses raisonnables. Cependant, des déclarations prospectives ne constituent pas des garanties d'une performance future, étant donné qu'elles portent sur des événements futurs et dépendent de circonstances qui pourraient ou non se réaliser dans le futur, et de divers risques et incertitudes, dont ceux décrits dans le document d'enregistrement universel de la société déposé auprès de l'AMF le 29 avril 2022 sous le numéro D.22-0399, dont une copie est disponible sur le site internet de la société (www.theranexus.com), et de l'évolution de la conjoncture économique, des marchés financiers et des marchés sur lesquels Theranexus est présent. Les déclarations prospectives figurant dans le présent communiqué sont également soumises à des risques inconnus de Theranexus ou que Theranexus ne considère pas comme significatifs à cette date. La réalisation de tout ou partie de ces risques pourrait conduire à ce que les résultats réels, conditions financières, performances ou réalisations de Theranexus diffèrent significativement des résultats, conditions financières, performances ou réalisations exprimés dans ces déclarations prospectives. Theranexus décline toute responsabilité quant à la mise à jour de ces déclarations prospectives.

Intervenants



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 +



Thierry LAMBERT

Chief Financial Officer

Diplômé en Business
Administration l'Université de
Birmingham

MBA (Master of Business
Administration) de l'INSEAD

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

Theranexus est une société en phase clinique développant des candidats-médicaments pour lutter contre des troubles neurologiques rares

Batten-1  BEYOND BATTEN DISEASE FOUNDATION

Maladie de Batten juvénile (CLN3)
P1-2 entièrement recruté et en cours

Plate-forme TFEB

Plate-forme maladies lysosomales

Plate-forme maladies avec hyperexcitabilité neuronale



La plateforme de R&D s'appuie notamment sur 3 collaborations scientifiques:

Neurolead



COLLÈGE
DE FRANCE
— 1530 —

Plateforme d'identification de candidats-médicaments sur la base de modèles pathologiques de maladies neurologiques rares

INSERM



Identification de candidats médicaments de thérapies innovantes (ARN) dans les maladies neurologiques rares

AlstroSight



Université Claude Bernard Lyon 1

Méthodes numériques innovantes pour la recherche de nouveaux candidats médicaments pour traiter des maladies neurologiques rares

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

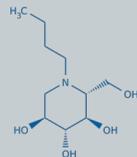
Découverte récente du mécanisme de la maladie

- 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 validée à inhiber la formation des GSL dans des patients atteints de maladies lysosomales du CNS



Une reformulation liquide propriétaire & adaptée au patient

- Ajustement fin de la dose
- Brevets déposés 2021 et 2022
- ODDs⁴ accordées par la FDA & l'EMA



Un partenariat structurant

- BBDF : la principale fondation de patients dans ce domaine



Le seul actif en développement clinique avancé dans CLN3

- Profil de sécurité déjà validé chez le patient CLN3 (P1/2)
- Lancement d'une Phase 3 US/Europe dès la fin 2023



First-to-market dans un marché à fort potentiel

- Enregistrement dès 2026
- >500 M\$ de pic de vente



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 Llyod-Evans, Cardiff University

⁴Désignation médicament orphelin

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



700 à 1 000 patients aux USA¹
800 à 1 000 patients dans l'UE²



Transmission autosomique récessive, effet fondateur localisé dans les pays nordiques



Aucun traitement enregistré

Mutation dans la protéine CLN3



Accumulation toxique de glycosphingolipides dans le cerveau



Une forte mortalité des neurones conduisant à de nombreux symptômes neurologiques



Perte d'acuité visuelle => cécité 4-10 ans



Déclin cognitif et crises d'épilepsie 12 -20 ans



Symptômes moteurs Décès dans la vingtaine

Rationnel scientifique ayant conduit à Batten-1 : comment réduire l'accumulation des glycosphingolipides ?

¹ Sur la base de données d'assurance (Decision Resources Group)

² Données Orphanet

³Travaux réalisés par le laboratoire d'Emyr Llyod Evans à l'université de Cardiff (financés par la Beyond Batten Disease foundation) et travaux confirmatoires menés par Theranexus

Batten-1 cible la synthèse des glycosphingolipides dont l'accumulation est toxique pour les neurones

Blocage de la synthèse des GSL par le miglustat (principe actif dans Batten-1), conduisant à une réduction de son accumulation



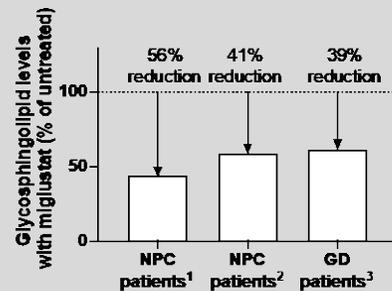
Réduction de la mortalité cellulaire dans le cerveau, avec l'objectif de bloquer la progression de la maladie

Une activité déjà validée chez l'homme dans d'autres indications

Niveaux de GSL fortement réduits (démonstration clinique dans des indications similaires)

Le miglustat (principe actif de Batten-1) a déjà prouvé son efficacité clinique pour réduire le niveau des GSL dans deux indications:

- La maladie de Gaucher
- La maladie de Niemann-Pick de type C

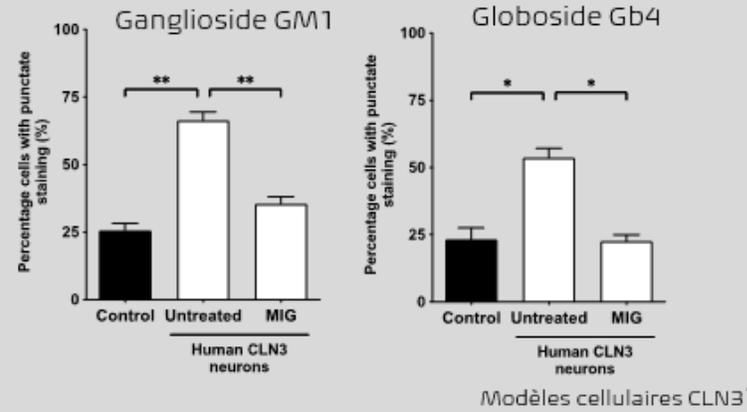


¹ Lachmann et al, 2004

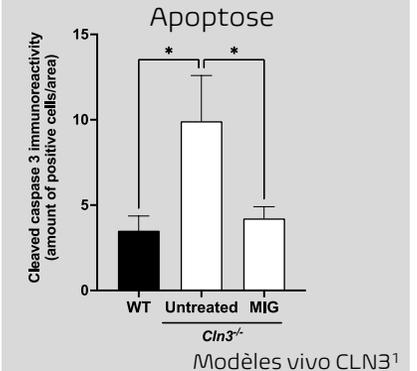
² Fan et al, 2013

³ Zavesca labeling package, EMA, 2005

Accumulation de GSL fortement réduite dans CLN3



Une apoptose normalisée dans CLN3



Batten-1 est efficace pour cibler la synthèse des glycosphingolipides et normaliser l'apoptose^{1 2}

¹Travaux réalisés par le laboratoire d'Emyr Llyod Evans à l'université de Cardiff (financés par la Beyond Batten Disease foundation) et travaux confirmatoires menés par Theranexus

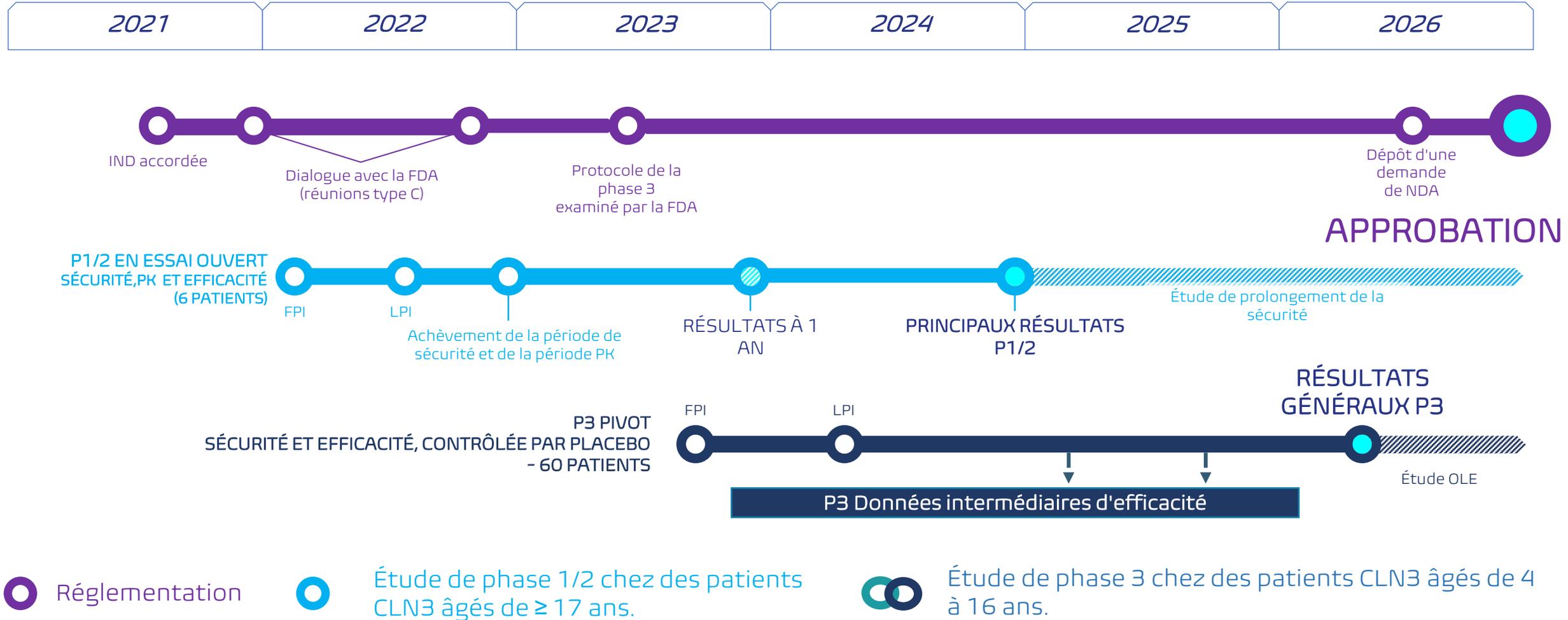
² Glycosphingolipid reduction with miglustat as a therapeutic strategy for CLN3 and other neuronal ceroid lipofuscinoses, Dr Emyr Lloyd-Evans, Cardiff University

Batten-1 : développement d'une solution buvable propriétaire adaptée à la population de patients CLN3

- Une solution buvable qui facilite la prise et la modulation du traitement
 - Solution buvable :
 - Convient aux patients pédiatriques ainsi qu'aux patients présentant des difficultés de déglutition.
 - Haute concentration, permettant de traiter tous les patients, quels que soient leur âge et leur poids.
 - Pipette graduée => modulation fine de la dose, permettant la meilleure tolérance possible lors de l'augmentation progressive en début de traitement.
- Brevets de méthode d'utilisation et de formulation déposés sur les principaux marchés (2021 et 2022).
- Orphan Drug Designations accordées par la FDA (USA) et l'EMA (UE)



Plan de développement ambitionnant une autorisation de mise sur le marché d'ici 2026



VISER UNE AUTORISATION DE MISE SUR LE MARCHÉ D'ICI 2026

Batten-1 : pic de ventes mondiales dépassant 500 millions de dollars par an

Territoires	Nombre de patients actuellement diagnostiqués	Ventes basées sur les patients diagnostiqués (millions USD) ¹	Prévalence estimée ⁴	Ventes basées sur les patients estimés (millions USD) ¹
États-Unis	~750 ²	~480	~1 200	~765
UE5 (Allemagne, France, Italie, Espagne, Royaume-Uni)	~340 ³	~50	~500	~75
Pays Nordiques	~120 ³	~15	~180	~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 au cours du premier trimestre 2022 (source : rapport de Justin Stindt Consulting pour Theranexus).

2 : Estimation de la population diagnostiquée sur la base des demandes de remboursement des assurances pour la lipofuscinose céréoïde neuronale (code ICD-10 : E75.4) avec un âge au moment du diagnostic entre 8 et 15 ans ; (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 pour la lipofuscinose céréoïde neuronale (NCL) (code ICD-10 : E75.4) avec un âge au diagnostic entre 8 et 15 ans au Royaume-Uni et en Allemagne (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)

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

Batten-1, un actif clinique particulièrement attractif:

- ✓ Batten-1 sur le marché en 2026
- ✓ Un mécanisme bien compris et à l'efficacité éprouvée
- ✓ Un fort degré de protection (formulation propriétaire + ODD)
- ✓ Un accès facilité à un marché potentiel élevé (>\$500M/an):
 - Partenariat déjà en place avec le BBDF (la plus grande association de patients CLN3 au monde)
 - Un processus optimisé jusqu'à l'approbation
 - Nombre limité de prescripteurs et la possibilité d'accès précoce pour accélérer l'adoption du traitement
- ✓ Pas de traitement sur le marché et pas de concurrent en développement actif

Une plateforme de R&D dédiée aux maladies rares neurologiques:

- ✓ Plateforme s'appuyant sur des collaborations scientifiques de très haut niveau
- ✓ Un nouveau candidat ARN au second semestre 2023

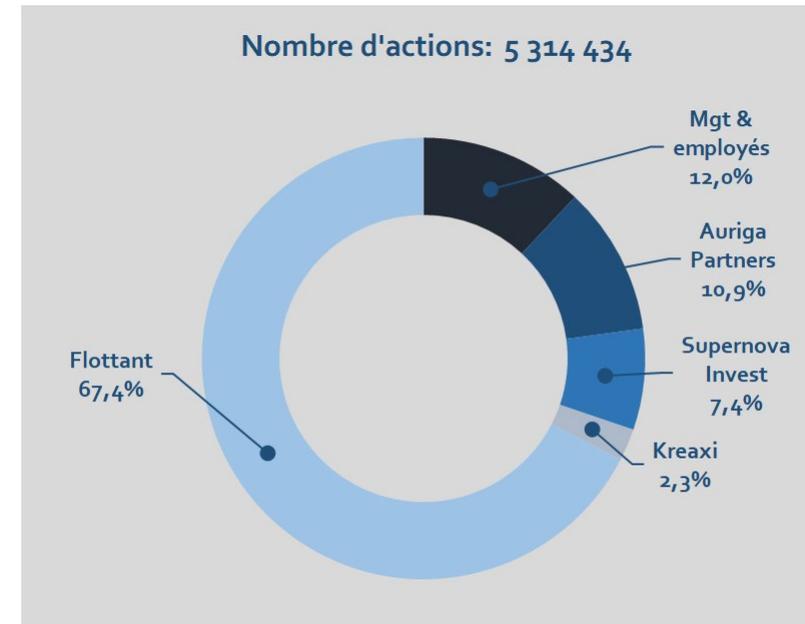
Annexes

Cotation et actionnariat

Données financières

- ISIN : FR0013286259 - Mnémo : ALTHX
- Marché : Euronext Growth
- Cours de l'action au 22 Février 2023 : 1,91 €.
- Capitalisation boursière : 10,2 millions d'euros
- Couverture : ODDO BHF, Portzamparc
- Contrat de liquidité : Portzamparc

Structure du capital

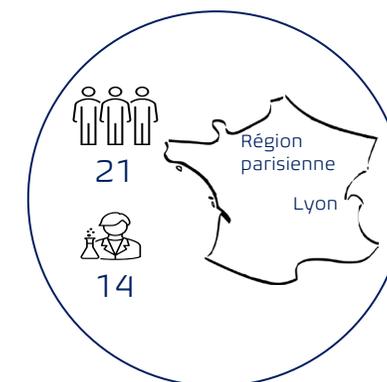


Compte de résultat simplifié

Des dépenses contrôlées

En K€ (normes françaises)	S1 2022	S1 2021
Produit d'exploitation	462	12
Autres achats et charges externes	1 950	2 944
Salaires et charges sociales	1 509	1 388
Dotation aux amortissements et immobilisation	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 31/12/22 : 9 140 K€



MERCI DE VOTRE ATTENTION !

Vos contacts :

Mathieu Charveriat

Chief Executive Officer

mathieu.charveriat@theranexus.com / mobile : + 33 6 63 01 19 19

Thierry Lambert

Chief Financial Officer

thierry.lambert@theranexus.com / mobile : +33 6 03 86 27 88