



Theranexus devient THX Pharma : une évolution stratégique vers la commercialisation de ses médicaments dans les maladies rares

Avec TX01 et Batten-1, THX Pharma ouvre une nouvelle phase stratégique tournée vers l'enregistrement, l'accès précoce et la commercialisation internationale de ses médicaments.

Lyon, France – 29 septembre 2025, 6.30 pm CEST – THX Pharma (Theranexus), société pharmaceutique spécialisée dans les maladies neurologiques rares, dévoile aujourd'hui sa nouvelle identité visuelle et commerciale¹, marquant une nouvelle étape dans son développement vers l'enregistrement et la commercialisation de ses candidats médicaments dans les maladies rares neurologiques.

Une étape majeure dans la croissance de la société marquée par un changement de nom

Depuis sa création, Theranexus s'est engagée à découvrir et développer des solutions innovantes pour les patients atteints de maladies rares neurologiques. En devenant THX Pharma, la société affirme son évolution d'un modèle de société de biotechnologies à celui d'industriel pharmaceutique, focalisé sur l'enregistrement et l'accès au marché, sur plusieurs territoires, de ses candidats médicaments phares. Au cœur de cette évolution, TX01, une nouvelle formulation d'un médicament enregistré, repensée pour des populations pédiatriques atteintes de deux pathologies rares, et Batten-1, candidat médicament le plus avancé au monde dans le traitement de la maladie de Batten.

« THX Pharma incarne l'évolution de notre entreprise : de l'innovation en laboratoire à la mise sur le marché de ses traitements au bénéfice des patients. Notre nouvelle identité reflète notre ambition : progresser dans la chaîne de valeur en commercialisant le plus rapidement possible des solutions innovantes dans trois maladies rares à forts besoins médicaux insatisfaits. Le développement commercial de TX01 sera assuré à la fois par Exeltis² et par THX Pharma. Celui de Batten-1 repose dorénavant sur un plan optimisé et nettement moins capitalistique que précédemment, compte tenu des données d'efficacité extrêmement encourageantes collectées à ce jour³. Notre objectif est d'atteindre la rentabilité d'ici 2028. Nous continuons d'étudier différentes options de financement et de partenariat afin de soutenir la mise en œuvre de nos programmes et d'accélérer notre développement commercial à l'international » explique **Mathieu Charvériat, Président-Directeur Général de THX Pharma.**

¹ La société envisage de soumettre à la prochaine assemblée générale de ses actionnaires un changement de sa dénomination sociale en THX Pharma.

² https://www.theranexus.com/images/pdf/Theranexus_CP_Accord_de_Licence_Exeltis_VDEF.pdf

³ https://www.theranexus.com/images/pdf/Theranexus_CP_Donnees_en_vie_reelle_positives_VDEF.pdf



Un développement mondial de notre portefeuille

La feuille de route de THX Pharma s'articule désormais autour de trois piliers stratégiques :

1. Le candidat TX01

TX01 est la première formulation adaptée aux enfants d'un médicament déjà enregistré sous forme solide. Nous préparons sa commercialisation dans les pays suivants :

- **En Europe, au Royaume-Uni, en Amérique latine et dans certains pays du Moyen-Orient**, la société s'appuie sur son partenariat avec Exeltis, qui lancera prochainement une procédure d'enregistrement pour TX01 dans les maladies de Gaucher et de Niemann-Pick de type C, avec en objectif commun la commercialisation dès 2027.
- **Aux États-Unis, au Canada et en Australie**, THX Pharma portera directement l'enregistrement de TX01 pour la maladie de Gaucher et de Niemann-Pick de type C, toujours d'ici 2027, avec une stratégie de signature de contrats de distribution post autorisation de mise sur le marché (AMM).

Avec cette stratégie de commercialisation de TX01, THX Pharma vise 50 m€ de revenus annuels au pic de ventes, à l'horizon 2031-2032.

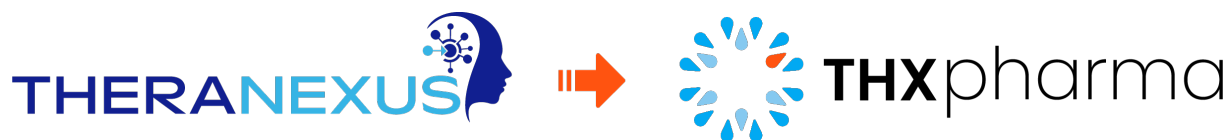
2. Le candidat Batten-1

Batten-1 est le médicament en développement le plus avancé dans la forme juvénile de la maladie de Batten, une maladie neurodégénérative touchant 2 000 enfants dans le monde et sans aucun traitement à ce jour. THX Pharma a très récemment publié des données d'efficacité en vie réelle, sur le même critère principal que celui demandé par les agences réglementaires FDA et EMA. Ces données, inédites sur la fonction visuelle, permettent de projeter un plan de développement clinique optimisé jusqu'à son enregistrement, puis sa commercialisation en 2028.

- La société va déployer un **programme d'accès précoce (EAP) aux États-Unis** pour une cinquantaine de patients, accès qui sera très largement auto-financé par les assurances des patients, tel qu'encadré par les recommandations récentes de la FDA⁴.
- **En Europe** et en parallèle, la société lancera **une étude clinique de phase 3**, sur une vingtaine de patients, en ouvert, sur 12 mois de traitement.

Ces deux programmes collecteront des données d'efficacité qui contribueront au dossier d'enregistrement auprès de la FDA et de l'EMA ; la société pourra également compléter les enregistrements en Australie et au Canada, pour viser une population très large de patients atteints de la maladie de Batten. La société estime à environ 4 M€ les dépenses spécifiques pour ces étapes sur la période 2026-2028 avec une mise sur le marché planifiée dès 2028. Dans cette indication, et suivant une stratégie de commercialisation similaire à celle mise en place pour TX01, THX Pharma vise à générer 200 M€ de revenus supplémentaires à l'horizon 2032-2033.

⁴ <https://www.fda.gov/news-events/public-health-focus/expanded-access>



3. Une plateforme innovante d'oligonucléotides antisens

L'équipe scientifique de THX Pharma développe une plateforme d'oligonucléotides antisens, adaptée aux maladies rares, et centrée autour d'un premier actif visant l'activation de l'autophagie dans les maladies lysosomales et une seconde cible dans le traitement des glioblastomes, un marché évalué à plus de 3 Md\$. Cette plateforme bénéficie de l'accompagnement et du soutien décisif de Bpifrance dans le cadre du projet PickASO⁵.

A propos de THX Pharma

THX Pharma (Theranexus) est une société pharmaceutique spécialisée dans le traitement des maladies neurologiques rares. Son premier médicament, TX01, sera prochainement commercialisé, notamment en Europe par Exeltis, mais également aux Etats-Unis, au Canada et en Australie, dans la maladie de Niemann-Pick de type C et la maladie de Gaucher. Son second médicament, Batten-1, vise la forme juvénile de la maladie Batten et pourrait être la première thérapie envisagée dans cette forme. THX Pharma dispose également d'une plateforme innovante d'oligonucléotides antisens, coconstruite avec des laboratoires de premier rang, toujours dans le domaine des maladies rares neurologiques.

THX Pharma, un nom commercial de Theranexus, est cotée sur le marché Euronext Growth à Paris (FR0013286259- ALTHX).

Pour plus d'informations :

<http://www.thxpharma.com>

Suivez-nous sur Twitter et LinkedIn



Contacts :

THX PHARMA

Christine PLACET

Directeur Administratif et Financier

contact@thxpharma.com

FP2COM

Florence PORTEJOIE

Relations médias

+ 33 (0)6 07 76 82 83

fportejoie@fp2com.fr

Avertissement

Ce communiqué contient des informations et déclarations prospectives. Ces informations et déclarations ne constituent pas des faits historiques. Ces informations et déclarations comprennent des projections et des estimations concernant les objectifs et les perspectives de la société (et, en particulier, la mise sur le marché et le potentiel de ses produits). Bien que la direction de la société estime que ces informations et déclarations prospectives sont raisonnables, les investisseurs sont alertés sur le fait que ces informations et déclarations prospectives sont soumises à de nombreux risques et incertitudes, difficilement prévisibles et généralement en dehors du contrôle de la société, qui peuvent impliquer que les résultats et événements effectivement réalisés diffèrent significativement de ceux qui sont exprimés, induits ou prévus dans les informations et déclarations prospectives. Ces risques et incertitudes comprennent notamment ceux décrits dans son document d'enregistrement universel déposé auprès de l'Autorité des marchés financiers sous le numéro D.25-0350.

⁵ https://www.theranexus.com/images/pdf/Theranexus_PR_PickASO_Projet_Bpifrance_VDEF.pdf