

## **Pharnext annonce la désignation « Fast Track » de la FDA pour sa PLEODRUG™ PXT3003 dans la maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1A**

**PARIS, France, le 4 février 2019 à 17h45 (CEST) – Pharnext SA (FR0011191287 - ALPHA)**, société biopharmaceutique pionnière d'une nouvelle approche de développement de combinaisons de médicaments innovants basée sur les Big Data génomiques et l'Intelligence Artificielle, annonce aujourd'hui que l'agence de santé américaine FDA (Food and Drug Administration) a accordé la désignation « Fast Track » au développement du PXT3003 pour le traitement de patients atteints de la maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1A (CMT1A). PXT3003 est une nouvelle association synergique de baclofène, naltrexone et sorbitol formulée sous forme de solution buvable administrée deux fois par jour.

*« Nous sommes heureux d'obtenir la désignation « Fast Track » pour le PXT3003 dans la CMT1A », déclare le Professeur Daniel Cohen, fondateur et Directeur Général de Pharnext. « La CMT1A est une neuropathie rare et chronique qui affecte au moins 125 000 personnes aux États-Unis et en Europe. Il n'existe actuellement aucun traitement approuvé pour cette maladie. Nous sommes impatients de poursuivre le dialogue avec la FDA en vue de déposer rapidement une NDA (New Drug Application) pour le PXT3003, afin de permettre aux patients de bénéficier de ce traitement dans de meilleurs délais ».*

La FDA accorde le statut « Fast Track » pour faciliter le développement et accélérer l'examen réglementaire des médicaments destinés au traitement des maladies graves pour lesquelles il existe un besoin médical non satisfait. La désignation « Fast Track » permet d'établir une relation étroite et régulière avec la FDA pour définir les plans de développement du médicament et son processus d'évaluation, ainsi que la revue séquentielle des dossiers de NDA.

### **À propos de l'étude de Phase 3 PLEO-CMT**

En décembre 2015, Pharnext a initié PLEO-CMT, une étude pivot de Phase 3 en double aveugle de 15 mois qui a évalué l'efficacité et l'innocuité du PXT3003 chez 323 patients CMT1A âgés de 16 ans à 65 ans. En octobre 2018, il a été annoncé que PXT3003 avait atteint le critère principal d'évaluation prédéfini par la FDA et l'EMA, avec une amélioration cliniquement significative de l'ONLS (*Overall Neuropathy Limitation Scale*) par rapport au placebo ( $p=0,008$ ). En mars 2017, Pharnext a initié une étude d'extension de 9 mois en ouvert, PLEO-CMT-FU, actuellement en cours. PLEO-CMT-FU, conçue pour évaluer l'innocuité et la tolérance à long terme de PXT3003, a inclus les patients ayant terminé l'étude PLEO-CMT.

### **À propos de PXT3003**

La PLEODRUG™ PXT3003 la plus avancée de Pharnext, issue de sa plateforme de R&D appelée PLEOTHERAPY™, est une nouvelle combinaison synergique fixe à faible dose de baclofène, naltrexone et sorbitol bénéficiant du statut de « médicament orphelin » en Europe et aux États-Unis. PXT3003 a

montré des résultats positifs lors d'études précliniques et de Phase 2 pour le traitement de la CMT1A. Ces résultats ont été publiés dans *Orphanet Journal of Rare Diseases* (OJRD) en décembre 2014. Les études précliniques ont montré que PXT3003 inhibe la surexpression du gène PMP22, améliore la myélinisation des nerfs périphériques et les troubles cliniques moteurs et sensoriels. Dans l'essai clinique de Phase 2 mené sur 80 patients adultes atteints de CMT1A, PXT3003 s'est avéré sûr et bien toléré. PXT3003 a également montré des signes d'amélioration de plusieurs critères d'efficacité meilleurs qu'une stabilisation clinique, notamment sur l'échelle ONLS.

### À propos de PHARNEXT

Pharnext est une société biopharmaceutique à un stade clinique avancé, qui développe de nouvelles thérapies pour les maladies neurodégénératives orphelines et communes actuellement sans solution thérapeutique satisfaisante. Pharnext possède deux produits en développement clinique. SYNGILITY®, dénomination du PXT3003 acceptée par l'Agence européenne des médicaments, a terminé un essai de Phase 3 international pivot avec des premiers résultats positifs dans la maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1A et bénéficie du statut de médicament orphelin en Europe et aux Etats-Unis. Le PXT864 a obtenu des résultats de Phase 2 encourageants dans la maladie d'Alzheimer. Pharnext est le pionnier d'un nouveau paradigme de découverte de médicaments basé sur les Big data génomiques et l'intelligence artificielle : PLEOTHERAPY™. Pharnext identifie et développe des combinaisons synergiques de médicaments appelées PLEODRUG™. La société a été fondée par des scientifiques et entrepreneurs de renom, notamment le professeur Daniel Cohen, un pionnier de la génomique moderne, et est soutenue par une équipe scientifique de classe mondiale.

Pharnext est cotée sur le marché Euronext Growth à Paris (code ISIN : FR0011191287).

Pour plus d'informations, visitez notre site internet : [www.pharnext.com](http://www.pharnext.com)

### Avertissement

*Le présent communiqué contient des déclarations prospectives relatives à Pharnext et à ses activités, y compris ses perspectives. Pharnext 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 de base de Pharnext qui a été enregistré auprès de l'Autorité des marchés financiers (AMF) le 2 juin 2016 sous le numéro I.16-050 ainsi que dans ses différents rapports et communiqués de presse, ces documents étant disponibles sur le site internet de la Société ([www.pharnext.com](http://www.pharnext.com)), et de l'évolution de la conjoncture économique, des marchés financiers et des marchés sur lesquels Pharnext est présente. Les déclarations prospectives figurant dans le présent communiqué sont également soumises à des risques inconnus de Pharnext ou que Pharnext 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 Pharnext diffèrent significativement des résultats, conditions financières, performances ou réalisations exprimés dans ces déclarations prospectives. Pharnext décline toute responsabilité quant à la mise à jour de ces déclarations prospectives.*

*Le présent communiqué et les informations qu'il contient ne constituent ni une offre de vente ou de souscription, ni la sollicitation d'un ordre d'achat ou de souscription des actions ou de titres financiers de Pharnext dans un quelconque pays.*

**CONTACTS :**

**Pharnext**

Susanne Dorn

Directrice des Affaires Réglementaires

[contact@pharnext.com](mailto:contact@pharnext.com)

+33 (0)1 41 09 22 30

**Communication Financière (France)**

Actifin

Stéphane Ruiz

[sruiz@actifin.fr](mailto:sruiz@actifin.fr)

+33 (0)1 56 88 11 15

**Relations Investisseurs (U.S.)**

Stern Investor Relations, Inc.

Kendra Packard

[kendra@sternir.com](mailto:kendra@sternir.com)

+1 212 362 1200

**Relations Investisseurs (Europe)**

MC Services AG

Anne Hennecke

[anne.hennecke@mc-services.eu](mailto:anne.hennecke@mc-services.eu)

+49 211 529252 22

**Relations Presse (Europe)**

Ulysse Communication

Bruno Arabian

[barabian@ulyse-communication.com](mailto:barabian@ulyse-communication.com)

+33 (0)1 81 70 96 30

**Relations Presse (U.S.)**

RooneyPartners

Kate L. Barrette

[kbarrette@rooneyco.com](mailto:kbarrette@rooneyco.com)

+1 212 223 0561