

Pharnext annonce l'initiation de l'étude clinique d'extension de Phase 3 PLEO-CMT-FU de PXT3003 dans la maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1A

Paris, France, le 16 mars 2017 à 17h45 (CET) – Pharnext SA (FR00111911287 - ALPHA), société biopharmaceutique française qui développe un portefeuille avancé de produits dans le domaine des maladies neurodégénératives, annonce le recrutement des deux premiers patients dans l'étude clinique internationale d'extension de Phase 3 PLEO-CMT-FU de PXT3003, au Centre Hospitalo-Universitaire de La Timone (Marseille, France). PXT3003 est le PLEOMEDICAMENT™ le plus avancé de Pharnext, pour le traitement de la maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1A (CMT1A) légère à modérée, une neuropathie périphérique héréditaire rare et invalidante pour laquelle aucun traitement satisfaisant n'est disponible.

Le programme de Phase 3 de PXT3003 comprend deux essais cliniques internationaux :

- **PLEO-CMT** : étude pivot de Phase 3 avec un design adaptatif, multicentrique, randomisée, en double aveugle, d'une durée de 15 mois, contrôlée versus placebo, initiée en décembre 2015. En novembre 2016, le Comité Indépendant de Surveillance des Données (DSMB : Data Safety Monitoring Board) a recommandé la poursuite de l'étude PLEO-CMT après l'évaluation des données de sécurité des 100 premiers patients inclus dans l'étude et ayant terminé au moins 3 mois de traitement. Le recrutement des patients a pris fin en décembre 2016 avec un total de 323 patients dans 30 centres cliniques à travers l'Europe, les Etats-Unis et le Canada. Les premiers résultats de l'essai de Phase 3 PLEO-CMT sont attendus au cours du deuxième trimestre 2018. Ces données, si positives, constitueront la base du dossier de demande d'autorisation de mise sur le marché soumis aux autorités réglementaires en Europe et aux États-Unis.
- **PLEO-CMT-FU** : étude d'extension de Phase 3, multicentrique, en double aveugle, d'une durée de 9 mois, ayant pour objectif d'évaluer l'innocuité et la tolérance de PXT3003 à long terme. Elle inclura les patients ayant complété l'étude de Phase 3 PLEO-CMT en cours. Les patients qui auront reçu PXT3003 dans l'étude principale PLEO-CMT continueront à la même dose dans l'étude d'extension PLEO-CMT-FU, tandis que ceux ayant reçu un placebo recevront aléatoirement une des deux doses de PXT3003. Les premiers résultats sont attendus au cours du deuxième trimestre 2019.

Pharnext prévoit de soumettre une demande d'autorisation de mise sur le marché, en Europe et aux Etats-Unis, au cours du premier trimestre 2019. Les données d'innocuité et tolérance à long terme devraient ensuite être soumises aux autorités réglementaires pendant leur évaluation de cette demande. Comme attendu, une autorisation de mise sur le marché devrait être délivrée au cours du deuxième semestre 2019.

PXT3003, développé grâce à la plateforme de recherche et développement de Pharnext : PLEOTHERAPIE™, est une nouvelle combinaison synergique fixe à faible dose de (RS)-baclofène, naltrexone hydrochloride et sorbitol. Depuis 2014, PXT3003 bénéficie du statut de « médicament orphelin », pour le traitement de la CMT1A chez l'adulte en Europe et aux Etats-Unis.

« Le lancement de cette deuxième étude clinique internationale de Phase 3 représente une étape importante du programme de développement clinique de PXT3003. Cette étude vise à confirmer le profil d'innocuité et de tolérance à long terme de PXT3003 », a déclaré René Goedkoop, M.D., Directeur Médical de Pharnext. « Cette avancée souligne à nouveau la capacité de nos équipes des opérations cliniques à respecter les délais et nous rapproche un peu plus de la mise sur le marché de PXT3003, comme traitement potentiel pour les patients souffrant de CMT1A, maladie pour laquelle il n'existe à ce jour que des soins palliatifs ».

A propos de la CMT1A

La maladie de Charcot-Marie-Tooth (CMT) est constituée par un groupe hétérogène de neuropathies périphériques, chroniques, héréditaires, progressives. La CMT de type 1A (CMT1A), forme la plus fréquente de CMT, est une maladie orpheline touchant au moins 125 000 personnes en Europe et aux Etats-Unis. La mutation génétique à l'origine de la CMT1A est une duplication du gène PMP22 codant pour une protéine constituante de la myéline des nerfs périphériques. La surexpression de ce gène provoque une dégradation de la gaine des neurones (myéline) responsable du dysfonctionnement des nerfs, suivie par une perte de la conduction de l'influx nerveux. A cause de cette dégradation des nerfs périphériques, les patients souffrent d'atrophie musculaire progressive des jambes et des bras entraînant des problèmes de marche, de course et d'équilibre; ainsi que des troubles de fonctionnalité des mains. Les patients CMT1A peuvent devenir dépendants d'un fauteuil roulant dans 5% des cas. Ils peuvent également souffrir de troubles sensoriels légers à modérés. Les premiers symptômes apparaissent durant l'adolescence et vont progressivement évoluer au cours de la vie du patient. A ce jour, aucun médicament curatif ou symptomatique n'a reçu d'autorisation de mise sur le marché pour la CMT1A et la prise en charge consiste en des soins de support tels que les orthèses, les attèles, la kinésithérapie, l'ergothérapie ou encore la chirurgie.

A propos des études PLEO-CMT et PLEO-CMT-FU

PLEO-CMT est une étude pivot de Phase 3, multicentrique, randomisée, en double aveugle, contrôlée versus placebo, comprenant trois bras, initiée en décembre 2015 et qui a recruté 323 patients atteints de CMT1A légère à modérée dans 30 centres cliniques à travers l'Europe, les Etats-Unis et le Canada. Le diagnostic de CMT1A a été confirmé génétiquement par la détection de la duplication du gène PMP22. Sur une période de 15 mois, Pharnext comparera en bras parallèles l'efficacité et la tolérance de deux doses de PXT3003 administrées par voie orale avec le placebo. Le critère principal d'évaluation de l'efficacité sera la variation du score ONLS à 12 et

15 mois de traitement afin de mesurer l'amélioration fonctionnelle des patients sous PXT3003. Des critères secondaires additionnels d'évaluation incluront des mesures fonctionnelles et électrophysiologiques.

PLEO-CMT-FU est une étude d'extension de Phase 3, multicentrique, en double aveugle d'une durée de 9 mois, initiée en mars 2017 dans le but d'évaluer le profil d'innocuité et de tolérance de PXT3003 à long terme. Les patients ayant terminé l'étude PLEO-CMT (c'est-à-dire 15 mois de traitement en double aveugle avec une des deux doses active de PXT3003 ou un placebo) pourront continuer ou commencer le traitement avec PXT3003. Les patients ayant reçu PXT3003 dans l'étude principale PLEO-CMT continueront à la même dose, tandis que ceux ayant reçu un placebo recevront aléatoirement une des deux doses actives de PXT3003.

Pour plus d'informations sur l'essai clinique PLEO-CMT, merci de vous connecter sur: (Site du National Institute of Health (NIH), Etats-Unis) :

PLEO-CMT : <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT02579759>

PLEO-CMT-FU : <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03023540>

À propos de PHARNEXT

Pharnext est une société biopharmaceutique à un stade avancé de développement fondée par des scientifiques et entrepreneurs de renom, dont le Professeur Daniel Cohen, pionnier de la génomique moderne. Pharnext est spécialisée dans les maladies neurodégénératives et a deux produits en développement clinique : PXT3003 est en Phase 3 internationale dans la maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1A et bénéficie du statut de médicament orphelin en Europe et aux Etats-Unis. PXT864 a obtenu des résultats de Phase 2 positifs dans la maladie d'Alzheimer. Pharnext est le pionnier d'un nouveau paradigme de découverte de médicaments: PLEOTHERAPIE™. La société identifie et développe des combinaisons synergiques de médicaments repositionnés à faible dose. Ces PLEOMEDICAMENT™ présenteraient de nombreux avantages importants: efficacité, innocuité et propriété intellectuelle solide incluant plusieurs brevets de composition déjà délivrés. Pharnext est soutenue par une équipe scientifique de renommée internationale.

Pharnext est cotée sur le marché Alternext d'Euronext à Paris (code ISIN : FR00111911287).

Pour plus d'informations, connectez-vous sur www.pharnext.com

CONTACTS:

Pharnext

Pierre Schwich

Chief Financial Officer

investors@pharnext.com

+33 (0)1 41 09 22 30

Relations Investisseurs (Europe)

MC Services AG
Anne Hennecke
anne.hennecke@mc-services.eu
+49 211 529252 22

Relations Investisseurs (U.S.)

Stern Investor Relations, Inc.
Sarah McCabe
sarah@sternir.com
+1 212-362-1200

Communication Financière (France)

NewCap
Julie Coulot
pharnext@newcap.eu
+33 (0)1 44 71 20 40

Relations Médias (Europe)

ALIZE RP
Caroline Carmagnol
Margaux Pronost
pharnext@alizerp.com
+33 (0)1 44 54 36 64

Relations Médias (U.S.)

Russo Partners
Tony Russo, Ph.D.
Victoria Meissner, M.D.
tony.russo@russopartnersllc.com
victoria.meissner@russopartnersllc.com
+1 212-845-4251
+1 646-942-5627