

## Pharnext annoncera les premiers résultats de l'essai pivot de Phase 3 de PXT3003 dans la CMT1A d'ici octobre 2018

PARIS, France, le 21 juin 2018 – 19h30 (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 la mise à jour de son programme clinique de Phase 3 (études PLEO-CMT et PLEO-CMT-FU) visant à évaluer le candidat PXT3003 dans le traitement de la maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1A (CMT1A) chez l'adulte. Les premiers résultats de l'étude PLEO-CMT sont désormais attendus d'ici le mois d'octobre 2018.

**Prof Daniel Cohen, Co-fondateur et Directeur Général de Pharnext a déclaré :** « *Nous sommes ravis de mener à bien cet essai clinique de Phase 3 dont nous prévoyons d'annoncer les premiers résultats d'ici octobre de cette année. Notre PLEODRUG™ PXT3003 a déjà montré de premiers signes d'efficacité lors de notre étude de Phase 2 dans la CMT1A. Nous espérons pouvoir apporter cette solution thérapeutique innovante pour les patients atteints de cette maladie très invalidante pour laquelle il n'existe à ce jour aucune alternative aux soins palliatifs* ».

La PLEODRUG™ PXT3003 « first-in-class », issue de la plateforme de R&D PLEOTHERAPY™ de Pharnext, est une nouvelle combinaison fixe à faible dose de baclofène, naltrexone et sorbitol, disposant de la désignation « médicament orphelin » tant en Europe qu'aux Etats-Unis. PXT3003 s'est déjà avéré sûr et bien toléré au cours d'une étude de Phase 2. Une amélioration fonctionnelle, au-delà de la stabilisation, a également été observée avec la dose la plus élevée chez les patients CMT1A, évaluée par la variation des scores ONLS (*Overall Neuropathy Limitations Scale*) et CMTNS (*Charcot-Marie-Tooth Neuropathy Score*). Ces résultats sont publiés dans la revue scientifique [Orphanet Journal of Rare Diseases](#).

PXT3003 est actuellement évalué par une étude pivot de Phase 3 de 15 mois, multicentrique, randomisée, en double aveugle, contrôlée versus placebo. Initiée en décembre 2015, elle a recruté des patients âgés de plus de 16 ans et atteints de la maladie de CMT1A légère à modérée, dans 30 centres cliniques à travers l'Europe, les Etats-Unis et le Canada. Le critère principal d'évaluation de l'efficacité porte sur la variation du score ONLS à 12 et 15 mois de traitement afin de mesurer l'amélioration fonctionnelle des patients sous PXT3003. Des critères additionnels d'évaluation incluent des mesures fonctionnelles et électrophysiologiques.

Le développement clinique se poursuit par une étude d'extension de Phase 3 (PLEO-CMT-FU), multicentrique, 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 chez les patients qui ont complété l'étude PLEO-CMT.

Après avoir franchi avec succès plusieurs étapes de l'essai de Phase 3, notamment une évaluation favorable des données par le Comité Indépendant de Surveillance (DSMB : *Data Safety Monitoring Board*) en septembre 2017, une analyse de variabilité à l'aveugle en novembre 2017 et une analyse de futilité en novembre 2017, Pharnext compte annoncer les résultats de son étude pivot PLEO-CMT d'ici le mois d'octobre 2018.

## A propos de la CMT 1A

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, suivi 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.

## 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 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 basé sur les Big data génomiques et l'intelligence artificielle : PLEOTHERAPY™. La société identifie et développe des combinaisons synergiques de médicaments appelées PLEODRUG™ offrant de nombreux avantages importants : efficacité, innocuité et propriété intellectuelle solide. 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)

## CONTACTS:

### Pharnext

René Goedkoop  
 Directeur Médical  
[medical@pharnext.com](mailto:medical@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.  
 Matthew Shinseki  
[matthew@sternir.com](mailto:matthew@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