

Vitaccess et Pharnext lancent l'étude observationnelle internationale CMT&Me

Oxford (Royaume-Uni), PARIS, France, le 9 octobre 2018 à 7h30 – Vitaccess, société de numérique dans le domaine de la santé, et **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, annoncent aujourd'hui le lancement d'une étude internationale sur la maladie de Charcot-Marie-Tooth (CMT) au moyen d'une application numérique dédiée nommée CMT&Me.

CMT&Me est une étude observationnelle non interventionnelle sponsorisée par Pharnext, conçue pour recueillir des données de vraie vie de patients CMT (*Real-World Evidence* - RWE). L'objectif de l'étude est de mieux comprendre l'impact de la maladie sur leur vie quotidienne : le poids que représente la CMT, son histoire et son traitement, ses conséquences médicales, sociales et pharmacoéconomiques.

L'application est lancée cette semaine aux États-Unis et sera déployée dans quelques semaines en Allemagne, en France, en Italie, en Espagne et au Royaume-Uni. Elle a été développée en collaboration avec des experts internationaux de la CMT et les associations de patients : HNF (Hereditary Neuropathy Foundation) et CMTA (Charcot Marie Tooth Association) aux États-Unis, ASEM (Federación Española de Enfermedades Neuromusculares) en Espagne, ACMT-Rete en Italie, CMT UK, CMT France et la Fédération Européenne des associations de patients CMT. Les données collectées seront utiles aux chercheurs, aux sociétés scientifiques, aux associations de patients et à Pharnext. L'accès à ces données est soumis à l'approbation du Conseil scientifique de l'étude, composé d'experts internationaux de la CMT et des représentants des associations de patients mentionnées ci-dessus.

L'usage de la plateforme numérique MyRealWorld™ (RWE) développée par Vitaccess apportera à l'étude un aperçu complet de la vie quotidienne des patients CMT. Les participants pourront accéder à l'application CMT&Me depuis leurs propres smartphones (Android ou iOS) à domicile ou en déplacement, et les données seront collectées en temps réel. Ils pourront remplir des questionnaires d'informations de base et de qualité de vie, consigner leurs symptômes dans un journal et accéder aux références médicales et pratiques sur la maladie. Les données seront transmises à une base de données centrale et seront agrégées. Les chercheurs et les associations de patients pourront explorer l'ensemble des données anonymisées afin d'approfondir la connaissance de la CMT et d'améliorer les soins aux patients. La personnalisation de la plateforme numérique et des documents complémentaires a été facilitée par une collaboration étroite avec les associations et les patients.

Du 10 au 13 Octobre 2018, les équipes de Pharnext et de Vitaccess assisteront au **Congrès annuel 2018 de l'American Association of Neuromuscular & Electrodiagnostic Medicine** à Washington D.C. pour présenter le projet. Rejoignez la session organisée par HNF ce vendredi 12 octobre de 8h00 à 9h30, heure locale, pendant laquelle Mark Larkin (fondateur et PDG de Vitaccess) présentera l'application CMT&Me.

Pour en savoir plus sur l'étude et l'application CMT&Me, connectez-vous sur <https://vitaccess.com/cmt-and-me/> ou contactez nous à cmt@vitaccess.com.

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 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™. 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

CONTACTS:

Pharnext

Xavier Paoli
Chief Commercial Officer
investors@pharnext.com
Tel: +33 (0)1 41 09 22 30

Relations Presse (Europe)

Ulysse Communication
Bruno Arabian
barabian@ulyse-communication.com
+33 (0)1 81 70 96 30

Relations Presse (U.S.)

RooneyPartners
Kate L. Barrette
kbarrette@rooneyco.com
+1 212 223 0561

À propos de Vitaccess

Vitaccess est une société du numérique dans le domaine de la santé basée à Oxford au Royaume-Uni. Son expérience en matière d'accès au marché et d'évaluation médico-économique en fait un partenaire de confiance pour la filière pharmaceutique. Sa compréhension de la complexité des mécanismes de gouvernance, y compris RGDP (Règles Générales de Protection des Données) et réglementation HIPAA (Health Insurance Portability and Accountability Act of 1996), et ces standards ont été appliqués à la création de sa plateforme digitale, MyRealWorld™ grâce à laquelle Vitaccess recueille les données de vraie vie en temps réel.

MyRealWorld™ : La voix du patient, en numérique

Notre puissante plateforme numérique quantifie l'expérience de la maladie et des traitements des patients dans la vie quotidienne. Ces données peuvent être très différentes de l'impact mesuré lors des essais cliniques. Nous créons des applications pour smartphones pour lesquelles nous adaptons le recueil des données.

Recherche en économie de la santé et des résultats et Accès au marché, optimisé

Nous développons des recommandations effectives et pragmatiques qui optimisent l'accès aux soins des patients et l'évaluation des technologies de santé. Notre approche est fondée sur notre compréhension détaillée et à la minute près du paysage global de la recherche, appuyée par une vision et une rigueur analytiques.

CONTACTS:

Vitaccess

Dr Mark Larkin

Founder & CEO

mark.larkin@vitaccess.com

+44 (0) 1865 818 983

Media Relations

Coralie Rassinoux

coralie.rassinoux@vitaccess.com

+44 (0)7513 230 598