

Pharnext annonce que PXT3003 pour le traitement de la maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1A (CMT1A) a reçu le statut de Médicament Innovant Prometteur (PIM Designation) de l'Agence de Santé britannique

PARIS, France, le 18 mars 2020 à 8h30 (CET) – 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 britannique (MHRA : *Medicine and Healthcare products Regulatory Agency*) a accordé le statut de Médicament Innovant Prometteur (PIM : *Promising Innovative Medicine designation*) à son candidat médicament le plus avancé, PXT3003, pour le traitement de la maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1A (CMT1A) chez les patients de 16 ans et plus.

Le statut PIM indique qu'un produit de santé est un candidat prometteur à une mise à disposition avant l'obtention d'une autorisation de mise sur le marché britannique (EAMS : *Early Access to Medicine Scheme*) pour le traitement, le diagnostic ou la prévention d'affections potentiellement mortelles ou gravement invalidantes présentant des besoins médicaux non satisfaits.

« Nous sommes ravis de la décision du MHRA d'accorder le statut PIM au PXT3003, car elle confirme le potentiel de notre candidat médicament le plus avancé, comme un traitement innovant répondant au besoin médical important des patients atteints de CMT1A », a déclaré Daniel Cohen, MD, PhD, co-fondateur et Directeur Général de Pharnext. « Toutes les données existantes montrent que le PXT3003 est une combinaison de médicaments sûre et bien tolérée. Nous sommes impatients de poursuivre nos discussions avec les autorités réglementaires américaines et européennes afin de progresser dans le développement clinique de PXT3003 et de lancer le plus rapidement possible un essai pivot de Phase 3 supplémentaire aux États-Unis et en Europe ».

Le PXT3003 a également obtenu le statut de médicament orphelin aux États-Unis et en Europe et a reçu la désignation « Fast Track » de la FDA américaine (*U.S. Food and Drug Administration*).

À propos de la maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1A (CMT1A)

Les maladies de Charcot-Marie-Tooth (CMT) sont constituées 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 plus de 100 000 personnes aux États-Unis et en Europe. 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. En conséquence, la qualité de vie des patients CMT1A est considérablement réduite, ils souffrent d'atrophie musculaire progressive des jambes et des bras entraînant des problèmes de marche, de course et d'équilibre ainsi que des troubles fonctionnels des mains. Ils peuvent également souffrir de troubles sensoriels, de douleurs et de crampes et dans 5% des cas ont besoin d'un fauteuil roulant. Les premiers symptômes apparaissent à l'adolescence et évoluent progressivement au cours de la vie du patient. À 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 PXT3003

PXT3003, la PLEODRUG™ la plus avancée de Pharnext, dont le développement est issu de sa plateforme de R&D appelée PLEOTHERAPY™, est une nouvelle combinaison fixe à prise orale de baclofen, naltrexone et sorbitol bénéficiant du statut de « médicament orphelin » en Europe et aux Etats-Unis. PXT3003 a montré des résultats positifs lors d'études précliniques pharmacologiques et d'essais cliniques pour le traitement de la CMT1A. 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 un 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 au-delà d'une stabilisation clinique, notamment sur l'échelle ONLS. Ces résultats ont été publiés dans Orphanet Journal of Rare Diseases (OJRD) en décembre 2014. En octobre 2018, PXT3003 a terminé un essai de Phase 3 international chez 323 patients atteints de CMT1A âgés de 16 ans et plus, confirmant un excellent profil de sécurité de la combinaison et un profil d'efficacité encourageant. Une étude d'extension de Phase 3 est actuellement en cours.

À propos du statut PIM (*Promising Innovative Medicine*) et du programme EAMS (*Early Access to Medicines Scheme*) au Royaume-Uni

Le programme EAMS au Royaume-Uni, soutenu par l'industrie pharmaceutique, vise à donner accès à des produits de santé ne bénéficiant pas encore d'autorisation de mise sur le marché, aux patients atteints de maladies potentiellement mortelles ou gravement invalidantes lorsqu'il existe un besoin médical clair. Le programme EAMS est un processus en deux étapes : la première est l'obtention du statut PIM. Ce statut est une indication qu'un produit de santé est un candidat prometteur à une mise à disposition avant l'obtention d'une autorisation de mise sur le marché britannique (*EAMS : Early Access to Medicine Scheme*). Ce statut indique également que le développement clinique est en bonne voie grâce à une revue précoce des données disponibles par l'Agence des Produits de Santé. La deuxième étape à franchir sera l'avis scientifique (*Scientific Opinion*) de l'Agence des Produits de Santé britannique (*MHRA : Medicines and Healthcare products Regulatory Agency*). Le *Scientific Opinion* du MHRA décrit les bénéfices et les risques du produit de santé, et aide le prescripteur et le patient à prendre une décision sur l'utilisation du produit de santé avant son autorisation de mise sur le marché.

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. Plus d'information sur www.pharnext.com

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

Avertissement

Le présent communiqué contient des déclarations prospectives relatives à Pharnext et à ses activités. Pharnext estime que ces déclarations prospectives reposent sur des hypothèses raisonnables. Cependant, aucune garantie ne peut être donnée quant à la réalisation des prévisions exprimées dans ces déclarations prospectives qui sont soumises à des risques, dont ceux décrits dans le Document de référence enregistré auprès de l'AMF sous le numéro R.16-069 en date du 28 juillet 2016 (notamment dans son chapitre 4 incluant les risques liés aux produits et au marché de la société, risques réglementaires et juridiques, risques liés au développement clinique des produits et aux interactions avec les autorités de santé, risques liés à la mise sur le marché de ses produits), et à 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.

Le présent communiqué et les informations qu'il contient ne constituent pas, ni ne sauraient être interprétés comme une offre ou une invitation de vente ou de souscription, ou la sollicitation de tout ordre ou invitation d'achat ou de souscription d'actions Pharnext dans un quelconque pays. La diffusion de ce communiqué dans certains pays peut constituer une violation des dispositions légales en vigueur. Les personnes en possession du communiqué doivent donc s'informer des éventuelles restrictions locales et s'y conformer.

Contacts

Pharnext

Susanne Dorn

Directeur des Affaires Réglementaires

contact@pharnext.com

+33 (0)1 41 09 22 30

Relations Presse (Europe)

Ulysse Communication

Bruno Arabian

barabian@ulyссе-communication.com

+33 (0)1 81 70 96 30

Communication Financière (France)

Actifin

Stéphane Ruiz

sruiz@actifin.fr

+33 (0)1 56 88 11 15

Relations Investisseurs (U.S.)

Stern Investor Relations, Inc.

Jane Urheim

jane.urheim@sternir.com

+1 212 362 1200