

Pharnext apporte une mise à jour réglementaire et clinique sur la prochaine étude de Phase III de PXT3003 dans le traitement de la maladie de Charcot-Marie-Tooth de Type 1A

Suite à ses derniers échanges avec Pharnext, l'Agence du médicament américaine (U.S. Food and Drug Administration) a fourni des recommandations claires sur les étapes réglementaires pouvant conduire à l'obtention d'une autorisation de mise sur le marché de PXT3003, dont des éléments clés sur le design d'une étude pivot de Phase III unique

PARIS, France, le 10 juin 2020 à 7h00 (CET) – Pharnext SA (FR0011191287 - ALPHA), société biopharmaceutique à un stade clinique avancé, pionnière d'une nouvelle approche de développement de combinaisons de médicaments innovantes basée sur les Big Data génomiques et l'intelligence artificielle, fait un point réglementaire et clinique sur le PXT3003, son produit le plus avancé dans le traitement de la maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1A (« CMT1A »).

Point réglementaire

PXT3003, candidat médicament dans le traitement de la CMT1A, bénéficie à la fois du statut de médicament orphelin et de la désignation « *Fast Track* » de l'Agence du médicament américaine (« FDA »). Lors des discussions entre Pharnext et la FDA en 2019, l'agence avait recommandé de conduire une étude de Phase III supplémentaire. Sur la base des derniers échanges, la FDA a fourni des recommandations claires sur les étapes pouvant conduire au dépôt d'une demande d'autorisation de mise sur le marché (« NDA ») de PXT3003, le produit Pharnext au stade clinique le plus avancé.

La FDA a approuvé les principaux éléments de l'approche de Pharnext pour le plan de développement de PXT3003. Plus précisément, la FDA a indiqué qu'une seule étude pivot de Phase III dans la CMT1A, dès l'instant où elle produirait des résultats solides et concluants, pourrait être suffisante pour un dossier de demande d'approbation du PXT3003. Le design de cette étude clinique restera similaire à celui de la précédente étude de Phase III dont les résultats communiqués en octobre 2018 étaient encourageants. La FDA a confirmé l'ONLS (*Overall Neuropathy Limitation Scale*) en tant que critère principal d'évaluation. Élément notable, l'agence a également validé que l'étude clinique factorielle de Phase III, normalement requise pour les combinaisons de médicaments, puisse être une étude préclinique menée sur un modèle animal de la CMT1A. Cette étude factorielle préclinique, élément nécessaire en complément de l'étude de Phase III supplémentaire pour constituer le dépôt d'une NDA, sera conduite en suivant les Bonnes Pratiques de Laboratoire ("BPL") ou assimilées. De plus, son protocole sera similaire à celui de l'étude préclinique factorielle précédemment réalisée avec le même modèle animal de la CMT1A et qui avait conduit à des résultats positifs.

Point sur la prochaine étude clinique de Phase III

Pour la prochaine étude pivot de Phase III, suite aux recommandations de la FDA, Pharnext utilisera l'ONLS en tant que critère principal d'évaluation, comme dans la précédente étude de Phase III. Deux bras permettront de comparer la dose élevée *versus* placebo. Cette dose élevée a montré des résultats encourageants dans la première étude de Phase III. De plus, le problème de fabrication survenu avec la dose élevée de notre solution buvable a été résolu en la remplaçant par un volume deux fois plus important de la faible dose pour laquelle aucun problème de production n'a été précédemment observé. Un nouveau conditionnement plus pratique en dose unitaire sera également utilisé sous la forme de sachets de suspension buvable qui permettra une observance optimale du patient et un dosage plus précis.

Pharnext prévoit d'initier cette ultime étude clinique pivot de Phase III avant la fin du premier trimestre 2021.

Dr David Horn Solomon, Directeur Général, a déclaré : « *Nous sommes reconnaissants envers la FDA d'avoir fourni des recommandations claires et précises pour conduire avec succès les études pivots dont les données constitueront le dossier de demande d'enregistrement de PXT3003 dans la CMT1A. Le design de l'essai clinique de Phase III supplémentaire et celui de l'étude préclinique s'appuieront respectivement sur le design de l'essai clinique de Phase III précédente dont les premiers résultats furent encourageants, et sur celui de l'étude animale précédente ayant produit des résultats positifs. Nous avons résolu les problèmes liés à la production de PXT3003 survenus au cours de la Phase III précédente et nous prévoyons d'initier cet essai clinique de Phase III avant la fin du premier trimestre 2021. Pharnext reste pleinement engagé dans son objectif de mettre à disposition une nouvelle thérapie aux patients atteints de CMT1A et aux médecins pour combattre cette maladie actuellement sans solution thérapeutique.* »

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 Etats-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 II 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 III 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 III est actuellement en cours. Un essai pivot international supplémentaire de Phase III est prévu d'être initié au premier trimestre 2021.

A 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 III 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 II 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, 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

David Horn Solomon
Directeur Général
contact@pharnext.com
+33 (0)1 41 09 22 30

Relations Presse (Europe)

Ulysse Communication
Bruno Arabian
+33 (0)6 87 88 47 26
barabian@ulyse-communication.com
Pierre-Louis Germain
+33 (0)6 64 79 97 51
plgermain@ulyse-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