Paris, France, le 16 mars 2017 à 17h45 (CET) - Pharnext SA (FR00111911287 - ALPHA), une 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
n
ovembre 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
de
s
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 positive
s
,
constitueront la base du dossier de
demande d'autorisation de mise sur le marché
soumis
aux autorités règlementaires 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
inclu
ra
les patients
ayant
complété l'étude de
P
hase 3 PLEO-CMT
en cours
.
L
es p
atients
qui auront reçu
PXT3003 dans
l'étude
principale
PLEO-CMT
continuer
ont à la même dose
dans l'étude
d'extension
PLEO-CMT-FU
,
tandis que ceux ayant reçu un placebo

recevront aléatoirement u
ne 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 règlementaires 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, naltr
exone hydrochloride et sorbitol. Depuis 2014
,
PXT3003
bénéficie
du
statut de « médicament orphelin », pour le traitement de
la
CMT1A chez l'adult
e 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
.
«
C
ette 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 entrainant 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 p
atients
ayant reçu
PXT3003 dans
l'étude
principale

PLEO-CMT
continuer
ont à la même dose,
tandis que ceux ayant reçu un placebo
recevront aléatoirement u
ne 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).