

Écrit par Pharnext

Jeudi, 16 Mars 2017 20:24 - Mis à jour Jeudi, 16 Mars 2017 20:32

---



Paris, France, le 16 mars 2017 à 17h45 (CET) - Pharnext SA (FR00111911287 - ALPHA), un

société biopharmaceutique française qui développe un portefeuille avancé de produits dans le

domaine des maladies neurodégénératives

, annonce

le recrutement des deux premier

s patients d

ans l'étude

clinique

i nternationale  
d'extension

de P  
hase 3 PLEO-CMT-FU de PXT3003

, au  
C

entre

H  
ospitalo-

U  
niversitaire de La Timone (Marseille, France)

.  
PXT3003

est  
le PLEOMEDICAMENT  
TM

le plus avancé de Pharnext

,  
pour le traitement de la maladie de Charcot

-  
Marie-Tooth  
de type 1A (CMT1A)  
légère à modérée

Écrit par Pharnext

Jeudi, 16 Mars 2017 20:24 - Mis à jour Jeudi, 16 Mars 2017 20:32

---

, 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

Écrit par Pharnext

Jeudi, 16 Mars 2017 20:24 - Mis à jour Jeudi, 16 Mars 2017 20:32

---

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 réglementaires 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

Écrit par Pharnext

Jeudi, 16 Mars 2017 20:24 - Mis à jour Jeudi, 16 Mars 2017 20:32

---

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

Écrit par Pharnext

Jeudi, 16 Mars 2017 20:24 - Mis à jour Jeudi, 16 Mars 2017 20:32

---

TM

, est une nouvelle combinaison synergique fixe à faible dose de (RS)-baclofène, naltréxone hydrochloride et sorbitol. Depuis 2014

, PXT3003 bénéficie du statut de « médicament orphelin », pour le traitement de la CMT1A chez l'adulte en Europe et aux États-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

visait 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

Écrit par Pharnext

Jeudi, 16 Mars 2017 20:24 - Mis à jour Jeudi, 16 Mars 2017 20:32

---

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 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.

Écrit par Pharnext

Jeudi, 16 Mars 2017 20:24 - Mis à jour Jeudi, 16 Mars 2017 20:32

---

## 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

Écrit par Pharnext

Jeudi, 16 Mars 2017 20:24 - Mis à jour Jeudi, 16 Mars 2017 20:32

---

## 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)

,  
États-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

Écrit par Pharnext

Jeudi, 16 Mars 2017 20:24 - Mis à jour Jeudi, 16 Mars 2017 20:32

---

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).