



Communiqué de presse

Des données sur l'impact de la fatigue chez les patients atteints de maladies de Charcot-Marie-Tooth, issues de l'étude digitale CMT&Me, seront présentées lors d'un webinar organisé avec CMT UK

PARIS, France, le 23 mars 2023 à 8h30 (CET) – Pharnext SCA (FR001400BV89 - ALPHA) (la « Société »), société biopharmaceutique à un stade clinique avancé développant de nouvelles thérapies pour des maladies neurodégénératives sans solution thérapeutique satisfaisante, annonce aujourd'hui que des données issues de l'étude digitale CMT&Me sur l'impact de la fatigue dans les maladies de Charcot-Marie-Tooth (CMT) seront présentées sous forme d'un webinar de 45 minutes le 29 mars 2023 à 12h00 (heure britannique).

L'étude digitale internationale CMT&Me vise à mieux comprendre l'impact de la CMT sur le quotidien des patients. À ce jour, plus de 3 133 patients dans le monde participent à cette étude.

La communauté CMT au Royaume-Uni contribuant largement à cette importante étude menée auprès des patients, Vitaccess, en partenariat avec CMT UK et avec le soutien de Pharnext, organise un webinar de 45 minutes pour partager de nouveaux résultats issus de l'application CMT&Me au Royaume-Uni, le 29 mars à 12h00 (heure locale).

Pr Mario Saporta, Professeur Associé de Neurologie et de Génétique Humaine à l'Université de Miami, Miller School of Medicine, et Président du Conseil Scientifique de l'étude CMT&Me, commentera ces résultats les plus récents qui concernent particulièrement la fatigue et discutera de l'impact de la CMT sur la vie quotidienne des patients. Cette présentation sera suivie d'un sondage en direct qui ouvrira une session de questions-réponses.

Pour assister à ce webinar gratuit sur les derniers résultats de l'étude CMT&Me au Royaume-Uni, vous devez vous inscrire avant l'événement en cliquant sur ce [LIEN](#).

A propos de l'étude digitale CMT&Me évaluant le mode de vie des patient atteints de CMT

Lancée en 2018 sur une période de cinq ans aux États-Unis et en Europe, CMT&Me est une étude digitale évaluant le mode de vie des patients atteints de CMTs qui leur permet de rapporter, sur une application dédiée, comment cette pathologie affecte leur qualité de vie, notamment leur douleur au quotidien, leur mobilité et leur capacité à travailler. L'étude est conduite par la société Vitaccess en collaboration avec des associations de patients et des médecins experts des CMTs, avec le soutien de Pharnext.

Plus d'informations sur l'étude CMT&Me : <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03782883>.

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

Les maladies de Charcot-Marie-Tooth (CMT) regroupent un ensemble hétérogène de neuropathies périphériques, héréditaires, sévères, invalidantes, progressives et chroniques. La CMT1A, sous type le plus fréquent de CMT, est une maladie orpheline avec une prévalence de 1/5000 touchant environ 150 000 personnes en Europe et aux États-Unis, et environ 1 500 000 personnes dans le monde. La mutation génétique à l'origine de la CMT1A est une duplication du gène PMP22 codant pour une protéine de la myéline périphérique. La duplication de ce gène induit une surexpression de la protéine PMP22 et l'incapacité des cellules de Schwann à produire une myéline normale (gaine des neurones). La gaine de myéline ainsi dégradée (structure et fonctionnalité) perturbe la conduction de l'influx nerveux au niveau des nerfs périphériques et provoque la dégradation des axones. À cause de cette dégradation des nerfs périphériques, les patients souffrent d'une atrophie musculaire progressive au niveau des jambes et des bras entraînant des problèmes de marche, de course et d'équilibre, ainsi que des troubles de fonctionnalité des mains. Ils peuvent également souffrir de troubles sensoriels légers à modérés. Les premiers symptômes apparaissent généralement à l'adolescence et évoluent progressivement tout au long de la vie du patient. Dans les cas les plus sévères, les patients CMT1A deviennent dépendants d'un fauteuil roulant (au moins 5% des cas). À ce jour, aucun médicament curatif ou symptomatique n'a reçu

d'autorisation de mise sur le marché pour la CMT1A. La prise en charge de la maladie se limite à des soins de support tels que les orthèses, les attèles, la kinésithérapie, l'ergothérapie ou encore la chirurgie.

Plus d'information sur <https://pharnext.com/fr/disease/charcot-marie-tooth>.

À propos de Pharnext

Pharnext est une société biopharmaceutique à un stade clinique avancé, qui développe de nouvelles thérapies pour les maladies neurodégénératives actuellement sans solution thérapeutique satisfaisante. Pharnext possède un nouveau candidat médicament, PXT3003, en développement dans la maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1A (CMT1A), une neuropathie périphérique héréditaire, rare et invalidante. PXT3003 bénéficie du statut de médicament orphelin en Europe et aux Etats-Unis. En 2018, PXT3003 a terminé une étude clinique de Phase III, l'essai PLEO-CMT, avec des résultats préliminaires encourageants. Cet essai a été suivi d'une étude d'extension en ouvert, l'essai PLEO-CMT-FU, dans laquelle 120 patients poursuivent encore actuellement le traitement avec PXT3003. Les résultats à long terme suggèrent un bénéfice maintenu, en termes de tolérance et d'efficacité, après une durée totale d'étude clinique de 5 ans. Une étude clinique pivot de Phase III internationale, l'essai PREMIER, est en cours, dans laquelle 387 patients atteints de CMT1A ont été inclus. Les premiers résultats de l'essai PREMIER sont attendus au quatrième trimestre 2023. PXT3003 a été découvert avec l'approche R&D de Pleotherapy™. Pharnext attire l'attention des investisseurs sur les facteurs de risques, notamment financiers, détaillés dans ses rapports financiers. Plus d'information sur www.pharnext.com. Pharnext est cotée sur le marché Euronext Growth à Paris (code ISIN : FR001400BV89).

Contacts

Relations Presse Financière

ACTUS finance & communication

Déborah Schwartz

dschwartz@actus.fr

+33 (0)1 53 67 36 35

Relation Investisseurs

ACTUS finance & communication

Jérôme Fabreguettes Leib

pharnext@actus.fr

+33 (0)1 53 67 36 78