



PharNext annonce être à J-18 de la publication des premiers résultats de l'étude clinique pivot de Phase III (essai PREMIER) dans la maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1A

PARIS, France, le 23 novembre 2023 à 8h30 (CET) – PharNext SCA (FR001400JXB0 – ALPHA) (la « Société »), société biopharmaceutique à un stade clinique avancé développant de nouvelles thérapies pour des maladies neurodégénératives sans solution thérapeutique satisfaisante, dévoile aujourd'hui le calendrier de publication des premiers résultats de son étude clinique pivot de Phase III (essai PREMIER) dans la maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1A (CMT1A), une neuropathie périphérique rare invalidante.

Comme annoncé, l'essai PREMIER s'est déroulé tel qu'initialement prévu. Sa période en double aveugle de 15 mois s'est terminée en août 2023¹. La prochaine étape consiste à présent à verrouiller la base de données le 1^{er} décembre. À l'issue de cette étape majeure, PharNext compte recevoir les premiers résultats de l'étude le 8 décembre prochain. La Société devrait ainsi être en mesure de publier les premiers résultats de l'essai PREMIER le 11 décembre, à l'issue de leur analyse préliminaire.

Hugo Brugière, représentant de la direction de PharNext, déclare : « *Nous sommes ravis d'avoir mené à bien cet essai clinique de Phase III et c'est avec impatience que nous attendons d'en recevoir les premiers résultats dans une quinzaine de jours. Notre PXT3003 a déjà montré de premiers signes d'efficacité lors de nos essais précédents de Phase II et de Phase III dans la CMT1A. Nous espérons pouvoir apporter cette solution thérapeutique innovante à ces patients qui n'ont à ce jour aucune alternative aux soins palliatifs.* »

Pour rappel, l'essai PREMIER, initié en mars 2021, est une étude internationale pivot de Phase III, randomisée, en double aveugle, contrôlée contre placebo (deux bras), dont l'objectif principal est d'évaluer l'efficacité et la sécurité de PXT3003 sur une période de 15 mois chez des patients atteints de CMT1A d'intensité légère à modérée. La dose de PXT3003 testée contre placebo dans l'étude PREMIER correspond à la dose élevée testée dans la première étude clinique de Phase III (l'essai PLEOCMT) et dans son étude d'extension de Phase III en ouvert actuellement encore en cours (l'essai PLEOCMT-FU). En accord avec les agences réglementaires, le critère principal d'évaluation de l'efficacité est la variation du score ONLS (*Overall Neuropathy Limitation Scale*) qui mesure le handicap moteur fonctionnel. Au total, 387 patients atteints de CMT1A d'intensité légère à modérée ont été inclus dans l'essai PREMIER.

À l'issue de la période en double aveugle, les patients CMT1A inclus dans l'essai PREMIER ont tous eu la possibilité de poursuivre le traitement par PXT3003 dans l'étude d'extension en ouvert PREMIER-OLE (*Open-Label Extension*). L'objectif de cette étude d'extension est d'évaluer le profil d'innocuité et de tolérance de PXT3003 à long terme chez les patients qui ont complété l'essai PREMIER.

Le premier patient est entré dans la phase PREMIER-OLE en septembre 2022². À ce jour, 310 patients reçoivent PXT3003 à dose élevée et auront la possibilité de poursuivre le traitement jusqu'à sa disponibilité commerciale, si celui-ci est finalement approuvé aux États-Unis par la FDA (*Food and Drug Administration*) et en Europe par l'EMA (*European Medicines Agency*).

¹ [PharNext annonce la fin de l'essai PREMIER, étude clinique pivot de Phase III en double aveugle de PXT3003 dans la maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1A](#)

² [PharNext annonce l'inclusion du premier patient dans l'extension en ouvert de l'étude pivot de Phase III de PXT3003 dans la maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1A, l'essai PREMIER](#)

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 Etats-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>.

Avertissement :

La société Pharnext a mis en place un financement sous forme d'OCEANE-BSA avec la société Global Tech Opportunities 13, qui, après avoir reçu les actions issues de la conversion ou de l'exercice de ces instruments, n'a pas vocation à rester actionnaire de la société.

Les actions, résultant de la conversion ou de l'exercice des titres susvisés, seront, en général, cédées dans le marché à très brefs délais, ce qui peut créer une forte pression baissière sur le cours de l'action.

Les actionnaires peuvent subir une perte de leur capital investi en raison d'une diminution significative de la valeur de l'action de la société, ainsi qu'une forte dilution en raison du grand nombre de titres émis au profit de la société Global Tech Opportunities 13.

Les investisseurs sont invités à être très vigilants avant de prendre la décision d'investir dans les titres de la société admise à la négociation qui réalise de telles opérations de financement dilutives particulièrement lorsqu'elles sont réalisées de façon successive. La société rappelle que la présente opération de financement dilutif n'est pas la première qu'elle a mise en place.

Les investisseurs sont notamment invités à prendre connaissance des risques afférents à ces opérations, mentionnés dans le communiqué ci-dessous.

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 6 ans. Une étude clinique pivot de Phase III internationale, l'essai PREMIER, incluant 387 patients atteints de CMT1A s'est terminée en août 2023. Les premiers résultats de l'essai PREMIER sont attendus en décembre 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 : FR001400JXB0).

Contacts

Relations Presse Financière
ACTUS finance & communication
Anne-Charlotte Dudicourt
acdudicourt@actus.fr
+33 (0)1 53 67 36 32

Relation Investisseurs
ACTUS finance & communication
Jérôme Fabreguettes Leib
pharnext@actus.fr
+33 (0)1 53 67 36 78