



## Communiqué de presse

### Pharnext annonce le gel de la base de données de l'étude clinique pivot de Phase III (essai PREMIER) de PXT3003 dans la maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1A, dernière étape avant la publication des premiers résultats

PARIS, France, le 4 décembre 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, annonce aujourd'hui le gel de la base de données (« data lock ») de l'étude clinique pivot de Phase III (essai PREMIER) de PXT3003<sup>1</sup>, son candidat médicament dans la maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1A (CMT1A), une neuropathie périphérique rare invalidante.

À la suite de l'annonce récente<sup>2</sup> de Pharnext marquant la dernière visite du dernier patient (« LPLV ») dans son étude clinique pivot de Phase III (essai PREMIER), nous sommes ravis de confirmer la vérification de l'intégrité des données cliniques et d'annoncer le gel officiel de la base de données en date du 1<sup>er</sup> décembre 2023. Cette étape déterminante va permettre de lever l'aveugle sur le traitement reçu par les patients (PXT3003 ou placebo) et d'initier la phase d'analyse des résultats tant attendus. Pharnext maintient le calendrier annoncé et vise la diffusion des premières données de l'étude PREMIER de Phase III le 11 décembre, comme précédemment communiqué<sup>3</sup>.

**Gilbert Wagener, Directeur Médical de Pharnext, se réjouit en déclarant :** « Faire partie de l'équipe de Pharnext et terminer un essai clinique de Phase III qui a le potentiel de redéfinir la prise en charge thérapeutique des patients atteints de CMT1A, actuellement sans options efficaces, s'annonce passionnant. Nous adressons nos sincères remerciements à tous les patients, les associations de patients et les investigateurs pour leur soutien indéfectible tout au long de l'essai clinique. Nous sommes impatients de partager les résultats avec la communauté des patients et le grand public le 11 décembre 2023. »

**Hugo Brugière, gérant de Pharnext, partage son enthousiasme en déclarant :** « Nous nous félicitons d'être à la veille de la publication des données cliniques de Phase III. La proximité de la ligne d'arrivée procure un sentiment électrisant d'espoir de voir enfin PXT3003 émerger comme une solution thérapeutique d'avenir pour les patients atteints de CMT1A. »

#### **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.

<sup>1</sup> La commercialisation de PXT3003 est conditionnée à une étude clinique pivot de Phase III (essai PREMIER) positive et à l'approbation des agences réglementaires.

<sup>2</sup> [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](#)

<sup>3</sup> [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](#)

### 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](http://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](mailto:acdudicourt@actus.fr)  
+33 (0)1 53 67 36 32

#### Relation Investisseurs

ACTUS finance & communication  
Jérôme Fabreguettes Leib  
[pharnext@actus.fr](mailto:pharnext@actus.fr)  
+33 (0)1 53 67 36 78