

### **Pharnext annonce son intention de préparer des dossiers d'enregistrement et d'autorisation de mise sur le marché de PXT3003, son candidat-médicament dans la maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1A**

**PARIS, France, le 19 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, dévoile ses intentions après avoir poursuivi l'analyse des résultats cliniques pivot de Phase III (essai PREMIER) de PXT3003, son candidat médicament dans la maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1A (CMT1A), une neuropathie périphérique rare invalidante. Après la publication des premiers résultats le 11 décembre 2023<sup>1</sup>, l'analyse reste en cours et s'étendra sur le premier trimestre 2024.

#### **ANALYSE AFFINÉE DES RÉSULTATS**

Si les analyses primaires confirment les premiers résultats cliniques pivot de Phase III obtenus sur l'échelle ONLS (*Overall Neuropathy Limitation Scale*) et le score CMTNS-v2 (*Charcot-Marie-Tooth Neuropathy Score version 2*), qui ne montrent pas de réponse clinique significativement différente entre les patients traités et sous placebo, des analyses de sous-groupes suggèrent un signal d'efficacité. En effet, dans une analyse de sous-groupes de patients, on observe une meilleure réponse des patients traités dont l'IMC<sup>2</sup><25 ou chez les patients âgés de moins de 45 ans.

Par ailleurs, l'analyse des données a révélé que si l'étude a, dans son ensemble, été randomisée en double aveugle et contrôlée contre placebo en deux bras, chacun des centres d'investigation clinique n'a pas été stratifié de manière équilibrée entre les deux bras. Il en ressort que dans certains centres, les patients n'ont reçu que du placebo et dans d'autres, les patients n'ont reçu que le traitement. Or une analyse complémentaire montre qu'en retirant les données provenant de centres qui avaient moins de deux patients par bras, on obtient une différence statistiquement significative entre le groupe traité et le groupe sous placebo sur le critère CMTNS-v2.

#### **PRÉPARATION DES DOSSIERS RÉGLEMENTAIRES AUPRÈS DE LA FDA ET DE L'EMA**

Aux vues de l'ensemble de ces nouveaux résultats, des résultats de l'étude de Phase II, de la première étude de Phase III et des études d'extension dont l'une sur plus de 6 ans, du profil de sécurité remarquable du produit et de l'absence de traitement approuvé ou en développement clinique avancé dans la CMT1A, Pharnext pense qu'il y a une chance de convenir d'un processus d'enregistrement pour PXT3003 dans la CMT1A, auprès de la FDA et de l'EMA.

Désormais, l'équipe va donc se concentrer sur la mise en perspective de l'ensemble des données qui ont été accumulées sur une dizaine d'années, en parallèle avec l'ensemble de la littérature médicale qui décrit l'histoire naturelle<sup>3</sup> de la CMT1A. Cette analyse permettra au Conseil de surveillance et à la Direction de la Société de prendre la décision d'engager la prise d'un rendez-vous avec la FDA ou d'attendre les résultats de l'essai de Phase III mené actuellement en Chine par son partenaire Tasly, qui a acquis les droits de licence pour PXT3003 en Chine en 2017.

**Hugo Brugière, gérant de Pharnext, déclare :** « *Je suis heureux de pouvoir confirmer aujourd'hui ce que j'ai dit le 11 décembre dernier : l'espoir demeure de pouvoir apporter enfin une solution médicale à des patients en déficit de traitement. L'étude approfondie des données cliniques nous en apprend plus sur les revendications possibles pour notre candidat-médicament et ne contredit pas les résultats des études précédentes.*

*C'est un signal encourageant pour la suite, qui permet au Conseil de surveillance, au Comité de direction, aux leaders d'opinion et à nos partenaires de poursuivre notre marche en avant. »*

<sup>1</sup> [Pharnext fait le point sur les premiers résultats de l'étude clinique pivot de Phase III \(essai PREMIER\) de PXT3003 dans la maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1A](#)

<sup>2</sup> Indice de masse corporelle

<sup>3</sup> Description des différentes manifestations d'une maladie et de leur évolution au cours du temps en l'absence de tout traitement

**Avertissement :**

*La société Pharnext a mis en place (i) 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, et (ii) un financement en OS qui ont été ensuite transférées à une fiducie, laquelle est à présent chargée de leur equitization.*

*Les actions, résultant de la conversion ou de l'exercice des titres susvisés, sont, en général, cédées dans le marché à très brefs délais, ce qui peut créer une forte pression baissière sur le cours de l'action. Au cas particulier de la fiducie, les actions sont cédées sur le marché selon les modalités fixées dans la convention de fiducie.*

*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 nombre de titres émis au profit de la société Global Tech Opportunities 13 et/ou de la fiducie.*

*Les investisseurs sont invités à être très vigilants avant de prendre la décision d'investir (ou de rester investis) 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.*

**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. 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