



Pharnext progresse dans l'analyse des données de l'étude pivot de Phase III de PXT3003 dans la maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1A

PARIS, France, le 28 février 2024 à 8h30 (CET) – Pharnext SCA (FR001400N1P4 – ALPHA) (la « Société »), société biopharmaceutique à un stade clinique avancé développant de nouvelles thérapies pour des maladies neurodégénératives sans solution thérapeutique satisfaisante, fait un point d'étape sur l'analyse en cours des données de l'essai pivot de Phase III (essai PREMIER) de PXT3003, son candidat médicament dans la maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1A (CMT1A).

Pour rappel, le 11 décembre 2023¹, Pharnext a annoncé que sur le critère principal d'efficacité de l'essai PREMIER, l'échelle ONLS (*Overall Neuropathy Limitation Scale*) qui mesure le handicap moteur fonctionnel, les patients atteints de CMT1A légère à modérée ont montré des signes d'amélioration, qu'ils soient sous traitement ou sous placebo, plutôt que la dégradation lente typique de la progression naturelle de la CMT1A. Cette amélioration inattendue dans le groupe placebo rend difficile l'interprétation des résultats basés sur ce critère. Pour autant, d'autres données de l'essai ont suggéré qu'il n'y avait pas de détérioration de l'état des patients sous traitement, ce qui est un signe positif dans le contexte d'une maladie dégénérative comme la CMT1A.

De plus, l'essai a réaffirmé le profil de haute sécurité du traitement déjà établi dans toutes les études précédentes. Ce profil de sécurité est crucial pour le traitement d'une maladie chronique comme la CMT1A.

Le 19 décembre 2023², Pharnext a annoncé que des analyses de sous-groupes pré spécifiés de l'essai PREMIER suggéraient un signal d'efficacité, dont notamment une meilleure réponse des patients traités dont l'IMC<25 ou chez les patients âgés de moins de 45 ans.

Par ailleurs, l'analyse des données a révélé que si l'étude avait, dans son ensemble, bien été randomisée en deux bras (PXT3003 et placebo), la distribution des deux traitements au sein de chaque centre d'investigation clinique n'a pas été faite de manière équilibrée. 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 'post-hoc' a montré qu'en retirant les données provenant des centres qui avaient moins de deux patients par bras, soit 50 patients (13%), on obtient une différence statistiquement significative entre le groupe traité et le groupe sous placebo sur le score CMTNS.

Pour approfondir ces résultats encourageants, un certain nombre d'études complémentaires ont permis d'affiner nos conclusions à ce stade, sachant que l'analyse se poursuit et s'étendra sur le premier trimestre 2024.

- Sur l'ensemble des patients de l'essai PREMIER, d'après le score CMTNS, critère secondaire d'efficacité, les 2 sous-groupes de patients dont l'IMC<25 et dont l'âge< 45 ans ont montré une amélioration statistiquement significative du traitement par PXT3003 par rapport au placebo.
- En ne considérant que les centres qui avaient au moins deux patients par bras, soit 87% des patients inclus dans l'essai PREMIER, une amélioration statistiquement significative du score CMTNS a été observée chez les patients sous PXT3003 par rapport au bras placebo, quel que soit le poids des patients.
- Une simple comparaison des effets indésirables recueillis pendant l'essai PREMIER a montré que les patients du groupe sous PXT3003 ont rapporté environ 30% de symptômes liés à la CMT1A en moins que les patients du groupe placebo (aggravation générale, augmentation des chutes, faiblesse, douleurs, raideur musculaire, spasmes, contractions musculaires). Cette observation suggère un potentiel impact positif du PXT3003 dans l'atténuation des symptômes typiques de la CMT1A, contribuant potentiellement à la qualité de vie des patients bien au-delà des capacités de détection de l'échelle ONLS.

¹ [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](#)

² [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](#)

Désormais, conformément à son engagement daté du 17 janvier 2024³, la Société a arrêté toutes ses dépenses opérationnelles, le temps de terminer les analyses complémentaires de l'essai PREMIER. Elle confirme avoir réduit ses consommations courantes comme annoncé et attend les résultats à venir (avant l'été 2024) 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, avec 2 options :

- Si les résultats de l'étude conduite en Chine sont négatifs, Pharnext analysera ces résultats et en tirera les conclusions nécessaires en lien avec les actionnaires de la Société.
- Si les résultats de l'étude conduite en Chine sont positifs, montrant le bénéfice du PXT3003 de façon statistiquement significative, Pharnext poursuivra son dialogue avec la FDA et l'EMA pour convenir d'un processus d'enregistrement de PXT3003 dans la CMT1A.

Hugo Brugière, gérant de Pharnext, déclare : « Je suis heureux de gagner en confiance au fur et à mesure de l'avancement de nos analyses, et me réjouit de pouvoir compter sur les résultats de l'étude de Phase III parallèle qui s'achèvera prochainement en Chine.

Nous poursuivons nos propres analyses et devons discuter avec la FDA et l'EMA pour convenir d'un processus d'enregistrement, car encore une fois, nous gardons l'espoir de pouvoir enfin apporter une solution médicale aux patients CMT1A. Si les résultats de l'essai de Phase III en Chine sont positifs, et même sans accord de la FDA ou de l'EMA, la Société sera alors en mesure de se financer sur les années à venir par les seuls revenus de la licence chinoise. Plus que jamais, et grâce aux différentes analyses complémentaires réalisées, nos équipes sont confiantes dans le futur ».

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.

Pharnext est cotée sur le marché Euronext Growth à Paris (code ISIN : FR001400N1P4).

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

³ Pharnext engage un plan drastique de réduction des coûts et reçoit le soutien de ses partenaires financiers pour poursuivre la valorisation de son candidat médicament dans la maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1A