

Communiqué de presse

## Pharnext renouvelle son soutien à l'association Hereditary Neuropathy Foundation pour accroître la sensibilisation à la maladie de Charcot-Marie-Tooth

**Paris, le 15 septembre 2016** – Pharnext (code ISIN FR00111911287), société biopharmaceutique française qui développe un portefeuille avancé de produits dans le domaine des maladies neurodégénératives, renouvelle aujourd’hui son soutien à l’association de patients Hereditary Neuropathy Foundation (HNF), à l’occasion du mois dédié à la maladie de Charcot-Marie-Tooth (CMT).

A l’instar de nombreuses maladies orphelines, la CMT souffre d’un manque manifeste de reconnaissance auprès du grand public, du monde médical, de la recherche et des autorités sanitaires. À ce titre, le soutien de Pharnext aux activités d’HNF, initié il y a deux ans, vise à sensibiliser davantage à cette maladie et à renforcer la communauté des patients. Le but ultime est de garantir : un diagnostic plus efficace et rapide des patients atteints de CMT, une prise en charge optimale de ces patients et un soutien fort des chercheurs et médecins afin d’identifier un traitement contre cet ensemble de neuropathies périphériques héréditaires invalidantes.

Tout au long du mois de septembre dédié à la sensibilisation à la CMT, HNF soutient des événements et projets majeurs (<http://www.hnf-cure.org/september-awareness-2016>), notamment :

- Le registre de patients GRIN (*Global Registry for Inherited Neuropathies*), cofondé par HNF et le *Hannah’s Hope Fund* (HHF), association soutenant les patients et la recherche sur la Neuropathie à Axones Géants (GAN) ([www.neuropathyreg.org](http://www.neuropathyreg.org)).
- La communauté en ligne de patients atteints de CMT, hébergée sur la plate-forme INSPIRE (<https://www.inspire.com/groups/charcot-marie-tooth-cmt>).
- La carte d’alerte (*Fact Card*) neurotoxiques visant à informer les patients atteints de CMT sur les médicaments susceptibles d’aggraver leur neuropathie et à partager avec leurs professionnels de santé (<http://weblink.donorperfect.com/neurotoxicmeds>).
- La collecte de fonds *CMT Moon Run* (<http://hnf.donorpages.com/MoonRun/>).
- Le Programme *CMT-Connect*, une initiative proposant des ateliers éducatifs aux communautés de patients dans les différents états des États-Unis (<http://www.hnf-cure.org/cmt-connect>).

« Nous sommes reconnaissants envers Pharnext pour son soutien au cours des deux dernières années. Ce mois de sensibilisation à la CMT est l’occasion d’attirer l’attention du public sur cette maladie. Nous espérons que nos efforts conjoints avec Pharnext permettront de mettre à disposition des patients atteints de CMT et d’autres neuropathies rares, un certain nombre d’outils qui s’avéreront utiles, telles que le registre de patients GRIN ou le programme CMT-Connect lancé récemment », a déclaré **Allison Moore, Fondatrice et Présidente de l’association de patients Hereditary Neuropathy Foundation (HNF)**.

**Daniel Cohen, M.D., Ph.D., Co-fondateur et Directeur Général de Pharnext** a ajouté « Pharnext continue de soutenir les programmes d’HNF dans le cadre de notre engagement à améliorer la vie des personnes souffrant de CMT. HNF a réalisé un excellent travail pour soutenir la communauté de patients et accroître la sensibilisation à cette maladie invalidante. Soutenir des associations de patients comme HNF est

extrêmement important et s'inscrit pleinement parmi les missions que se fixent Pharnext, alors que nous poursuivons le développement de PXT3003, actuellement en Phase 3, pour le traitement des patients atteints de CMT de type 1A.»

## CONTACTS :

Pharnext	NewCap	ALIZE RP
Pierre Schwich	Relations Investisseurs	Relations Media
Directeur Financier	Julie Coulot	Caroline Carmagnol /Margaux Pronost
<a href="mailto:investors@pharnext.com">investors@pharnext.com</a>	<a href="mailto:pharnext@newcap.eu">pharnext@newcap.eu</a>	<a href="mailto:pharnext@alizerp.com">pharnext@alizerp.com</a>
+33 (0)1 41 09 22 30	+33 (0)1 44 71 20 40	+33 (0)1 44 54 36 64

## À PROPOS DE LA CMT1A

La maladie de Charcot-Marie-Tooth (CMT) est constituée par un groupe hétérogène de neuropathies périphériques, chroniques, héréditaires, progressives. La CMT de type 1A (CMT 1A), forme la plus fréquente de CMT, est une maladie orpheline touchant au moins 100 000 personnes en Europe et aux Etats-Unis. La mutation génétique à l'origine de la CMT 1A est une duplication du gène *PMP 22* codant pour une protéine constitutive de la myéline des nerfs périphériques. La surexpression de ce gène provoque une dégradation de la gaine des neurones (myéline) responsable du dysfonctionnement des nerfs, suivi par une perte de la conduction de l'influx nerveux. A cause de cette dégradation des nerfs périphériques, les patients souffrent d'atrophie musculaire progressive des jambes et des bras entraînant des problèmes de marche, de course et d'équilibre ; ainsi que des troubles de fonctionnalité des mains. Les patients CMT 1A peuvent devenir dépendants d'un fauteuil roulant dans 5% des cas. Ils peuvent également souffrir de troubles sensoriels légers à modérés. Les premiers symptômes apparaissent durant l'adolescence et vont progressivement évoluer au cours de la vie du patient.

A ce jour, aucun médicament curatif ou symptomatique n'a reçu d'autorisation de mise sur le marché pour la CMT 1A et la prise en charge consiste en des soins de support tels que les orthèses, les attelles, la kinésithérapie, l'ergothérapie ou encore la chirurgie.

## À PROPOS DE L'HEREDITARY NEUROPATHY FOUNDATION (HNF)

HNF est une organisation américaine à but non lucratif de type 501(c) 3 dont les missions sont de sensibiliser à la maladie de Charcot-Marie-Tooth (CMT) et les neuropathies héréditaires associées et leur diagnostic, soutenir les patients et leurs familles en mettant à leur disposition des informations essentielles pour améliorer leur qualité de vie, et soutenir la recherche vers de nouveaux traitements. HNF est notamment à l'origine du programme TRIAD (*Therapeutic Research in Accelerated Discovery*), une initiative rassemblant les milieux académiques, les pouvoirs publics et le secteur industriel privé pour soutenir et développer des traitements contre la CMT.

Pour plus d'informations, connectez-vous sur [www.hnf-cure.org](http://www.hnf-cure.org)

## À PROPOS DE PHARNEXT

Pharnext est une société biopharmaceutique à un stade avancé de développement fondée par des scientifiques et entrepreneurs de renom, dont le Professeur Daniel Cohen, pionnier de la génomique moderne. Pharnext est spécialisée dans les maladies neurodégénératives et a deux produits en

développement clinique: PXT3003 est en Phase 3 internationale dans la maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1A et bénéficie du statut de médicament orphelin en Europe et aux Etats-Unis. PXT864 a obtenu des résultats de Phase 2 positifs dans la maladie d'Alzheimer. Pharnext est le pionnier d'un nouveau paradigme de découverte de médicaments : la Pléothérapie. La Société identifie et développe des combinaisons synergiques de médicaments déjà approuvés mais pour d'autres maladies. Ces pléomédicaments sont développés à de nouvelles doses optimales plus faibles et sous une nouvelle formulation galénique. Les avantages des pléomédicaments sont importants : efficacité, innocuité et propriété intellectuelle incluant plusieurs brevets de composition déjà obtenus. La Société est soutenue par une équipe scientifique de renommée internationale.

La société Pharnext est cotée sur le marché Alternext d'Euronext à Paris (code ISIN : FR00111911287).

*Pour plus d'informations, connectez-vous sur [www.pharnext.com](http://www.pharnext.com)*