

## Communiqué de presse

### Pharnext annonce que le Comité de Surveillance des Données recommande la poursuite de l'étude de Phase 3 en cours de PXT3003 dans la maladie de Charcot-Marie-Tooth de Type 1A

**Paris, le 17 novembre 2016 – Pharnext SA (FR00111911287 - ALPHA)**, société biopharmaceutique française qui développe un portefeuille avancé de produits dans le domaine des maladies neurodégénératives, annonce aujourd’hui que le Comité Indépendant de Surveillance des Données (DSMB : Data Safety Monitoring Board) a réalisé sa première évaluation des données de sécurité de PXT3003 dans l’étude clinique de Phase 3 PLEO-CMT en cours. Les membres du DSMB ont pu consulter les données portant sur les 100 premiers patients inclus dans l’étude et ayant terminé au moins trois mois de traitement. Sur la base de cette analyse, le DSMB a recommandé la poursuite de l’étude telle que prévue.

L’étude pivot internationale de Phase 3 PLEO-CMT a été initiée en décembre 2015 et prévoit le recrutement de 300 patients atteints de CMT1A légère à modérée en Europe et aux Etats-Unis d’ici fin décembre 2016. Les patients seront randomisés dans trois groupes – placebo et deux doses de PXT3003 – et seront traités sur une durée de 15 mois. PXT3003, développé grâce à la plateforme R&D de Pharnext PLEOTHERAPIE®, est une nouvelle combinaison fixe à faible dose de (RS)-baclofène, naltrexone hydrochloride et sorbitol, administrée par voie orale.

Le DSMB est un groupe indépendant d’experts en pratique clinique, biostatistiques et en méthodologie d’étude, sélectionnés pour apporter des recommandations à Pharnext sur la base d’une analyse régulière et planifiée des données collectées pendant le déroulement de l’étude clinique.

*“Nous pensons que cette étude clinique a le potentiel de marquer un tournant décisif dans les efforts fournis pour apporter un traitement efficace aux patients souffrant de CMT1A », déclare le Pr. Daniel Cohen, M.D., Ph.D., Co-fondateur et Directeur Général de Pharnext. « Les options thérapeutiques actuelles sont très limitées et essentiellement de nature palliative. Lors d’un essai clinique de phase 2, notre PLEOMEDICAMENT® PXT3003 a déjà démontré son innocuité, un bon profil de tolérance et une amélioration fonctionnelle des patients atteints de CMT1A. Sur la base de l’évaluation positive des données de tolérance par le DSMB de l’étude clinique de Phase 3, nous sommes pleins d’espoirs d’apporter, au terme de cette étude, un traitement tant attendu par les patients qui souffrent de cette maladie invalidante. »*

---

## PHARNEXT | LA MEDECINE D'APRES

---

### CONTACTS:

Pharnext	NewCap	Relations Media (Europe)	Relations Media (US)
Pierre Schwich Directeur Financier <a href="mailto:investors@pharnext.com">investors@pharnext.com</a> +33 (0)1 41 09 22 30	Relations investisseurs <a href="mailto:pharnext@newcap.eu">pharnext@newcap.eu</a> +33 (0)1 44 71 20 40	Alize RP Caroline Carmagnol Margaux Pronost <a href="mailto:pharnext@alizerp.com">pharnext@alizerp.com</a> +33 (0)1 44 54 36 64	Russo Partners Tony Russo, Ph.D. Matt Middleman, M.D. <a href="mailto:tony.russo@russopartnersllc.com">tony.russo@russopartnersllc.com</a> <a href="mailto:matt.middleman@russopartnersllc.com">matt.middleman@russopartnersllc.com</a> +1 212-845-4251 +1 212-845-4272

### A 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 (CMT1A), forme la plus fréquente de CMT, est une maladie orpheline touchant au moins 125 000 personnes en Europe et aux Etats-Unis. La mutation génétique à l'origine de la CMT1A 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 CMT1A 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 CMT1A 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.

### A propos de l'étude PLEO-CMT

PLEO-CMT est une étude pivot de Phase 3, multicentrique, randomisée, en double aveugle, contrôlée versus placebo, comprenant trois bras, à laquelle participeront 300 patients âgés de 16 ans et plus, atteints de CMT1A légère à modérée, en Europe et aux Etats-Unis. Le diagnostic de CMT1A sera confirmé génétiquement par la détection de la duplication du gène PMP 22. Sur une période de 15 mois, Pharnext comparera en bras parallèles l'efficacité et la tolérance de deux doses de PXT3003 administrées par voie orale avec le placebo. Le critère principal d'évaluation de l'efficacité sera la variation du score ONLS à 12 et 15 mois de traitement afin de mesurer l'amélioration fonctionnelle des patients sous PXT3003. Des critères secondaires additionnels d'évaluation

---

## PHARNEXT | LA MEDECINE D'APRES

---

incluront des mesures fonctionnelles et électrophysiologiques. Ensuite, une étude de suivi d'une durée de neuf mois permettra aux patients ayant terminé les 15 premiers mois, de recevoir une dose active de PXT3003.

*Pour plus d'informations sur l'essai clinique PLEO-CMT, merci de vous connecter sur le site internet suivant :*

*Site du National Institute of Health (NIH) (Etats-Unis) : <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT02579759>*

### 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 : PLEOTHERAPIE®. La société identifie et développe des combinaisons synergiques de médicaments repositionnés à faible dose. Ces PLEOMEDICAMENT® offrent des avantages importants : efficacité, innocuité et propriété intellectuelle incluant plusieurs brevets de composition déjà obtenus. Pharnext est soutenue par une équipe scientifique de renommée internationale.

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)*