

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, France, le 6 septembre 2017 à 17h45 (CEST) – Pharnext SA (FR00111911287 - ALPHA), société biopharmaceutique pionnière d'une nouvelle approche de développement de médicaments innovants reposant sur la combinaison et le repositionnement de médicaments connus, annonce aujourd'hui que le Comité Indépendant de Surveillance des Données (DSMB : *Data Safety Monitoring Board*) a réalisé sa deuxième évaluation des données de sécurité de PXT3003 dans l'étude clinique de Phase 3 PLEO-CMT en cours. Sur la base de l'analyse des données de sécurité de tous les patients randomisés le DSMB a recommandé la poursuite de l'étude telle que prévue.

PLEO-CMT est une étude pivot de Phase 3, multicentrique, randomisée, en double aveugle, contrôlée versus placebo, comprenant trois bras, initiée en décembre 2015 et qui a recruté 323 patients atteints de la maladie de Charcot-Marie-Tooth de Type 1A (CMT1A) légère à modérée dans 30 centres cliniques à travers l'Europe, les Etats-Unis et le Canada. Le diagnostic de CMT1A a été confirmé génétiquement par la détection de la duplication du gène PMP22. 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 incluront des mesures fonctionnelles et électrophysiologiques.

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.

« Cette seconde recommandation positive émanant d'un groupe indépendant d'experts confirme une nouvelle fois le bon profil de tolérance de PXT3003, et ce même chez les patients ayant reçu jusqu'à 15 mois de traitement. Pour les patients souffrant de CMT1A, maladie pour laquelle il n'existe à ce jour que des soins palliatifs, cette étude clinique de Phase 3 est très importante », déclare le **Pr. Daniel Cohen, M.D., Ph.D., Cofondateur et Directeur Général de Pharnext**. *« Nous sommes convaincus que notre PLEODRUG™ PXT3003 a le potentiel de transformer la prise en charge des patients adultes atteints de CMT1A. Nous attendons avec impatience la fin de cette étude clinique afin de pouvoir partager les résultats préliminaires mi-2018. »*

A propos de PXT3003

PXT3003, la PLEODRUG™ la plus avancée de Pharnext et en développement dans la maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1A (CMT1A) est une nouvelle combinaison fixe à faible dose de baclofène, naltrexone et sorbitol, administrée deux fois par jour sous la forme d'une solution buvable. Son mécanisme d'action est multiple : inhibition synergique de la surexpression du gène PMP22 associée à une amélioration de la

myélinisation, préservation de l'axone des nerfs périphériques et des effets bénéfiques additionnels sur d'autres types cellulaires : cellules musculaires, jonctions neuromusculaires et cellules immunitaires.

PXT3003 a obtenu des résultats positifs dans l'essai clinique de Phase 2 mené sur 80 patients adultes atteints de CMT1A. En 2014, l'EMA et la FDA ont accordé le statut de « médicament orphelin » au PXT3003, pour le traitement de la CMT1A chez l'adulte.

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 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 : PLEOTHERAPY™. La société identifie et développe des combinaisons synergiques de médicaments repositionnés à de nouvelles doses optimales plus faibles. Ces PLEODRUG™ présenteraient de nombreux avantages importants : efficacité, innocuité et propriété intellectuelle solide incluant plusieurs brevets de produits déjà délivrés. Pharnext est soutenue par une équipe scientifique de renommée internationale.

Pharnext est cotée sur le marché Euronext Growth à Paris (code ISIN : FR00111911287).

Pour plus d'informations, visitez notre site internet : www.pharnext.com

CONTACTS :

Pharnext

Xavier Paoli

Directeur de la Commercialisation

contact@pharnext.com

+33 (0)1 41 09 22 30

Relations Investisseurs (Europe)

MC Services AG

Anne Hennecke

anne.hennecke@mc-services.eu

+49 211 529252 22

Relations Investisseurs (U.S.)

Stern Investor Relations, Inc.

Matthew Shinseki

matthew@sternir.com

+1 212-361-1200

Communication Financière (France)

NewCap

Emmanuel Huynh

pharnext@newcap.eu

+33 (0)1 44 71 20 40

Relations Médias (Europe)

ALIZE RP

Caroline Carmagnol

Margaux Pronost

pharnext@alizerp.com

+33 (0)1 44 54 36 64

Relations Médias (U.S.)

Russo Partners

Tony Russo

Scott Santiamo

tony.russo@russopartnersllc.com

scott.santiamo@russopartnersllc.com

+1 212-845-4251

+1 718-344-5843