

Pharnext amende le protocole des essais cliniques pivots internationaux de Phase 3 de PXT3003 dans la maladie de Charcot-Marie-Tooth de Type 1A

- Aucun problème d'innocuité et les étapes majeures du développement de PXT3003 demeurent inchangées -

Paris, France, le 18 septembre 2017 à 18h00 (CEST) – Pharnext SA (FR0011911287 - 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 un amendement au protocole du programme clinique de Phase 3 en cours (études PLEO-CMT et PLEO-CMT-FU) de PXT3003 dans la maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1A (CMT1A) chez l'adulte suite à un problème de stabilité de la formulation de la dose élevée de PXT3003.

PLEO-CMT, une étude pivot de Phase 3, multicentrique, randomisée, en double aveugle, contrôlée versus placebo, a terminé le recrutement de 323 patients atteints de CMT1A légère à modérée dans 30 centres cliniques à travers l'Europe, les Etats-Unis et le Canada en décembre 2016. Les patients ont été randomisés afin de recevoir soit du placebo soit une des deux doses de PXT3003 pendant 15 mois : dose 1 (5 mL) ou dose 2 (5 mL), la dose 2 étant le double de la dose 1. En accord avec le protocole, tous les patients devaient continuer leur traitement dans une étude d'extension de 9 mois (PLEO-CMT-FU), les patients traités par le placebo devant être randomisés entre la dose 1 et la dose 2 de PXT3003.

Au cours du temps, après 12 mois, un problème de stabilité est apparu dans certains lots de la formulation de la dose élevée (dose 2). Cet événement n'a soulevé aucun problème d'innocuité, mais afin d'assurer que les patients du bras de la dose 2 soient pleinement exposés à cette dose, Pharnext a décidé de les transférer dans l'étude d'extension de 9 mois en ouvert (PLEO-CMT-FU) où ils recevront le double de la dose 1 (2 X 5 mL). Les patients des bras placebo et dose 1 de l'étude en double aveugle de 15 mois, PLEO-CMT, poursuivront l'essai clinique de Phase 3 comme prévu initialement : puis, ces patients auront l'opportunité de continuer à être traités avec PXT3003 dans l'étude d'extension de 9 mois PLEO-CMT-FU.

Les étapes majeures du développement de PXT3003 demeurent inchangées : les résultats des analyses adaptative et de futilité toujours prévus fin 2017, les résultats de l'essai clinique PLEO-CMT toujours prévus au cours de la deuxième moitié de 2018, probablement au troisième trimestre. Le plan d'analyse statistique prendra en compte cet amendement. Les données constitueront la base du dossier de demande d'autorisation de mise sur le marché prévu d'être soumis au cours du premier trimestre 2019. Les données d'innocuité et tolérance à long terme provenant de l'étude clinique PLEO-CMT-FU devraient ensuite être soumises aux autorités règlementaires pendant leur évaluation de cette demande. Comme prévu initialement, Pharnext escompte une autorisation de mise sur le marché au cours du deuxième semestre 2019.

Ainsi que précédemment communiqué, le Comité Indépendant de Surveillance des Données (DSMB : Data Safety Monitoring Board) a évalué le 5 septembre 2017 les données d'innocuité et tolérance de tous les patients et, en l'absence d'effet indésirable sur l'une ou l'autre des deux doses de PXT3003, a recommandé la poursuite de l'essai clinique. Il faut noter que, en accord avec les autorités réglementaires, la dose 2 a été incluse dans l'étude PLEO-CMT sur la base de l'effet de dose – réponse observé au cours de l'essai de Phase 2. Seule la dose 1 a été testée dans l'essai clinique de Phase 2 : celle-ci s'est avérée sûre et bien tolérée tout en apportant une amélioration fonctionnelle des patients atteints de CMT1A, au-delà de la stabilisation.

« Nous avons trouvé une solution satisfaisante à ce problème inattendu de stabilité de la dose la plus élevée de PXT3003 qui n'avait pas été testée précédemment dans un essai clinique » a déclaré Daniel Cohen, M.D., Ph.D., Co-Fondateur et Directeur Général de Pharnext. « Tous nos objectifs et nos étapes du développement de PXT3003 sont maintenus pour apporter cette solution thérapeutique innovante aux patients atteints de CMT1A. »

À propos de PXT3003

PXT3003, développé grâce à la plateforme de recherche et développement de Pharnext : PLEOTHERAPY™, est une nouvelle combinaison synergique fixe à faible dose de (RS)-baclofène, naltrexone hydrochloride et sorbitol. PXT3003 bénéficie du statut de « médicament orphelin », pour le traitement de la CMT1A chez l'adulte en Europe et aux Etats-Unis.

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

AVERTISSEMENT

Le présent communiqué contient des déclarations prospectives relatives à Pharnext et à ses activités. Pharnext estime que ces déclarations prospectives reposent sur des hypothèses raisonnables. Cependant, aucune garantie ne peut être donnée quant à la réalisation des prévisions exprimées dans ces déclarations prospectives qui sont soumises à des risques dont ceux décrits dans le document de base de Pharnext enregistré par l'Autorité des marchés financiers (AMF) le 2 juin 2016 sous le numéro I.16-0050 et disponible sur le site internet de la Société (www.pharnext.com). La réalisation de tout ou partie de ces risques pourrait conduire à ce que les résultats réels ou réalisations de Pharnext diffèrent significativement des résultats ou réalisations exprimés dans ces déclarations prospectives.

CONTACTS :

Pharnext

René Goedkoop, MD

Chief Medical Officer

medical@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

+1 212-362-1200

**Communication Financière
(France)**

Actifin

Stéphane Ruiz

sruiz@actifin.fr

+33 (0)1 56 88 11 15

Relations Médias (Europe)

ALIZE RP

Caroline Carmagnol

Margaux Pronost

pharnext@alizerp.com

+33 (0)1 44 54 36 64

Relations Médias (U.S.)

RooneyPartners

Marion Janic

mjanic@rooneyco.com

+1 212.223.4017