



Communiqué de presse

Poxel publie sa position de trésorerie et son chiffre d'affaires de l'exercice 2021 et dresse un bilan de ses activités

- Au 31 décembre 2021, la trésorerie et les équivalents de trésorerie s'élevaient à 32,3 millions d'euros (36,6 millions de dollars)
- Chiffre d'affaires de 13,4 millions d'euros pour l'exercice clos le 31 décembre 2021
- Résultats de l'étude de phase II pour le PXL065 (DESTINY-1) dans la NASH attendus au troisième trimestre 2022
- Statut « Fast Track » pour le PXL065 dans l'adrénoleucodystrophie (ALD) accordé par la *Food and Drug Administration* (FDA) ; lancement des études cliniques de phase IIa de preuve de concept (POC) désormais prévu en milieu d'année, avec des résultats attendus début 2023

Des informations complémentaires sur cette publication sont données par Thomas Kuhn, DG de Poxel, dans une vidéo accessible [ici](#).

LYON, France, le 16 février 2022 – POXEL SA (Euronext : POXEL - FR0012432516), société biopharmaceutique au stade clinique développant des traitements innovants pour les maladies chroniques graves à physiopathologie métabolique, dont la stéatohépatite non alcoolique (NASH) et les maladies métaboliques rares, annonce aujourd'hui sa position de trésorerie et son chiffre d'affaires de l'exercice 2021 et dresse un bilan de ses activités.

« L'année 2021 a été à nouveau une année très riche pour Poxel. Nous avons soutenu notre partenaire Sumitomo Dainippon Pharma, un leader dans le domaine du diabète au Japon, dans toutes les étapes qui ont conduit à l'approbation de TWYMEEG® (Imeglimine) au Japon en juin, suivie par son lancement commercial en septembre. Sumitomo dispose d'un savoir-faire remarquable et nous attendons désormais la poursuite de leurs activités au Japon et dans les autres territoires couverts par notre accord en vue de maximiser les performances commerciales de TWYMEEG », a déclaré Thomas Kuhn, Directeur Général de Poxel.

« L'année a également marqué le début d'une transition stratégique vers les maladies rares, domaine dans lequel nous pensons pouvoir devenir un acteur important grâce à nos produits innovants, premiers de leur classe, associés à l'expertise de nos équipes. Nous avons réalisé des progrès importants dans la préparation de nos deux études cliniques de phase IIa de preuve de concept (POC) pour le PXL065 et le



PXL770 dans l'adrénoleucodystrophie liée au chromosome X (ALD) et nous nous félicitons d'avoir obtenu de la *Food and Drug Administration* (FDA) le statut « Fast Track » pour le PXL065 dans cette indication », a poursuivi Thomas Kuhn, Directeur Général de Poxel. « Compte tenu de nos avancées dans la préparation de ces études, nous prévoyons désormais de les initier en milieu d'année, avec des résultats attendus début 2023. En 2022, nous poursuivrons l'exécution de notre plan stratégique et attendons désormais de pouvoir partager les premiers résultats de DESTINY-1, notre étude de phase II dans la NASH pour le PXL065, attendus au troisième trimestre ».

Au 31 décembre 2021, le total de la trésorerie et des équivalents de trésorerie s'élevait à 32,3 millions d'euros (36,6 millions de dollars), contre 40,2 millions d'euros (49,4 millions de dollars) au 31 décembre 2020. La dette financière nette (hors impacts IFRS16 et instruments dérivés) s'élevait à 2,6 millions d'euros au 31 décembre 2021, contre -17,2 millions d'euros au 31 décembre 2020.

<i>(en milliers d'euros)</i>	T4 2021	T4 2020
Trésorerie	28 753	15 588
Équivalents de trésorerie	3 534	24 615
Total trésorerie et équivalents de trésorerie*	32 287	40 203

Chiffres non audités.

*La dette financière nette (hors impacts IFRS 16 et instruments dérivés) s'élève à 2,6 millions d'euros à la fin du 4^{ème} trimestre 2021 et à -17,2 millions d'euros à la fin du 4^{ème} trimestre 2020.

Chiffre d'affaires de l'exercice 2021

Poxel a réalisé un chiffre d'affaires de 13,4 millions d'euros au cours de l'exercice clos le 31 décembre 2021, contre 6,8 millions d'euros sur la même période en 2020.

<i>(en milliers d'euros)</i>	2021 T1	2021 T2	2021 T3	2021 T4	Exercice 2021	Exercice 2020
	3 mois	3 mois	3 mois	3 mois	12 mois	12 mois
Accord Roivant	-	-	-	-	-	18
Accord Sumitomo Dainippon Pharma	-	13 274	-	103	13 377	6 787
Autre	-	-	-	20 ¹	20	1
Chiffre d'affaires total	-	13 274	-	123	13 397	6 806

Chiffres non audités.

¹Le montant correspondant au chiffre d'affaires « Autre » comprend un paiement d'ENYO Pharma SA lié à Vonafexor (EYP001), un agoniste FXR qui a été licencié par Poxel en 2015.



En 2021, le chiffre d'affaires comprend les paiements suivants de Sumitomo Dainippon Pharma (« Sumitomo ») dans le cadre de l'accord de licence avec Sumitomo :

- Un paiement d'étape de 1,75 milliard de yens (13,2 millions d'euros) au titre de l'approbation de TWYMEEG au Japon le 23 juin 2021, et
- 7,5 millions de yens (58 milliers d'euros) de redevances, qui représentent 8% des ventes nettes de TWYMEEG au Japon.

Conformément à l'accord de licence avec Sumitomo, Poxel est éligible à des redevances croissantes comprises entre 8 et 18% sur les ventes nettes de TWYMEEG, et des paiements basés sur les ventes pouvant atteindre 26,5 milliards de yens (environ 200 millions d'euros²). Sur la base des prévisions actuelles, Poxel prévoit de recevoir 8% de redevances sur les ventes nettes de TWYMEEG au Japon au titre de l'exercice fiscal 2022 (avril 2022 à mars 2023)³.

Dans le cadre de l'accord de licence conclu avec Merck Serono⁴, Poxel versera à Merck Serono une redevance fixe de 8% des ventes nettes de l'Imeglimine, quel que soit le niveau des ventes.

Développement commercial

TWYMEEG® (Imeglimine)

- Au 31 décembre 2021, le chiffre d'affaires de Poxel issu des redevances basées sur les ventes nettes de TWYMEEG au Japon dans le cadre de l'accord de licence avec Sumitomo est modeste du fait du lancement commercial récent de TWYMEEG, le 16 septembre 2021. Le début de la commercialisation de TWYMEEG a été affecté par les restrictions appliquées au Japon pour la prescription de tout nouveau médicament au cours de sa première année de commercialisation, et les conditions liées au COVID-19, qui ont réduit la fréquence des visites chez les médecins et limité les efforts importants de formation des prescripteurs nécessaires à tout lancement d'un médicament innovant avec un nouveau mécanisme d'action. Cependant, grâce aux activités et aux efforts promotionnels développés par Sumitomo depuis le lancement, TWYMEEG est très bien connu des médecins prescripteurs.
- Après avoir récupéré l'ensemble des droits de l'Imeglimine pour les États-Unis et l'Europe auprès de Metavant, Poxel a conduit en 2021 une évaluation poussée de potentielles opportunités de partenariat et ne prévoit pas de conclure un partenariat stratégique global dans ces territoires dans un avenir proche. La Société évalue désormais les possibilités d'exploiter les données cliniques de l'Imeglimine dans des territoires spécifiques, y compris celles résultant de sollicitations directes.
- Les résultats de deux essais cliniques de phase III sur l'Imeglimine ont été récemment publiés dans la revue médicale *Diabetes Obesity and Metabolism* :

² Converti au taux de change en vigueur à la date de l'accord (30 octobre 2017).

³ Correspondant à l'exercice fiscal de Sumitomo Dainippon Pharma.

⁴ Comme décrit dans la section « 2.3.1. Contrat Merck Serono » du Document d'Enregistrement Universel 2020 de Poxel.



- La publication relative à l'étude TIMES 2 intitulée « Long-term safety and efficacy of Imeglimin as monotherapy or in combination with existing antidiabetic agents in Japanese patients with type 2 diabetes (TIMES 2): A 52-week, open-label, multicentre phase 3 trial » a été publiée en décembre 2021.
- La publication relative à l'étude TIMES 3 intitulée « Efficacy and safety of Imeglimin add-on to insulin monotherapy in Japanese patients with type 2 diabetes (TIMES 3): A randomized, double-blind, placebo-controlled phase 3 trial with a 36-week open-label prolongation period » a été publiée en janvier 2022.

Etat du développement clinique

NASH (PXL065 et PXL770)

- En septembre 2021, le recrutement de 123 patients atteints de NASH non cirrhotique confirmée par biopsie a été finalisé pour l'étude de phase II DESTINY-1 pour le PXL065. Cette étude de phase II, randomisée, en double aveugle, avec contrôle placebo et en groupes parallèles, d'une durée de 36 semaines, menée sur plusieurs sites cliniques aux États-Unis, évalue l'efficacité et la sécurité du PXL065. Les résultats sont attendus au troisième trimestre 2022. L'objectif principal de cette étude est d'identifier la ou les doses optimales qui seront évaluées dans un essai d'enregistrement de phase III, pour le traitement de patients atteints de NASH non cirrhotique confirmée par biopsie.
- En novembre, lors du congrès de l'AASLD The Liver Meeting® 2021, Poxel a présenté de nouvelles données cliniques issues du recrutement des patients pour l'étude de phase I DESTINY-1 pour le PXL065.
- Dans la NASH, le développement du PXL770, un activateur oral direct de l'AMPK, premier de sa classe, sera défini sur la base des résultats de l'essai de phase II du PXL065 dans la NASH et des deux études de preuve de concept de phase IIa dans l'ALD.

Maladies métaboliques rares (PXL065 et PXL770)

- Le PXL065 a récemment obtenu le statut « Fast Track » (« *Fast Track Designation* », FTD) de la FDA des États-Unis pour le traitement des patients atteints d'adrénomyélonéuropathie (AMN), la forme la plus courante d'adrénoleucodystrophie liée au chromosome X (ALD). Ce statut est accordé par la FDA aux médicaments en développement qui visent à traiter des pathologies graves ou mortelles, et répondent à un besoin médical non satisfait. L'objectif avancé par la FDA est « que les patients aient accès à des nouveaux médicaments plus rapidement⁵ ».

⁵ Pour plus d'information sur le statut « Fast Track » (en anglais) consulter : <https://www.fda.gov/patients/fast-track-breakthrough-therapy-accelerated-approval-priority-review/fast-track>.



- Le lancement des deux études cliniques de preuve de concept de phase IIa pour le PXL065 et le PXL770 dans l'adrénoleucodystrophie liée au chromosome X (ALD) est désormais prévu en milieu d'année, et les résultats sont attendus début 2023.
- Le 6 décembre 2021, et en lien avec la réorientation stratégique de Poxel visant à se développer de manière plus importante dans les maladies métaboliques rares, Poxel a annoncé la création d'un Conseil Scientifique dédié aux maladies métaboliques rares. La première réunion de ce SAB en 2021 a été l'occasion d'échanges fructueux utiles à l'élaboration du plan des études de phase IIa dans l'ALD et du plan de phase III.
- Au cours du quatrième trimestre 2021, Poxel a participé à plusieurs conférences scientifiques et de défense des patients atteints d'adrénoleucodystrophie liée au chromosome X (ALD) et a présenté ses programmes de développement, dont les données de pharmacologie pré-clinique, pour le traitement de cette maladie neuro-métabolique orpheline sévère, sans traitement disponible. La Société a notamment réalisé des présentations à l'occasion de conférences organisées par deux organisations majeures de défense des patients, Alex The Leukodystrophy Foundation au Royaume-Uni et ALD Connect aux États-Unis.

Présentations prévues et participations prochaines à des événements

- Conférence Jefferies Global Healthcare, du 8 au 10 juin
- Conférence JMP Securities 2022 Life Sciences, du 15 au 16 juin

Prochain communiqué financier : Résultats annuels 2021, le 23 mars 2022.

A propos de Poxel

Poxel est une **société biopharmaceutique dynamique** qui s'appuie sur son expertise afin de développer des **traitements innovants contre les maladies métaboliques**, dont la **stéatohépatite non-alcoolique (NASH)** et certaines maladies rares. La Société dispose actuellement de programmes cliniques et opportunités à un stade précoce de développement provenant de son activateur de la protéine kinase activée par l'adénosine monophosphate (AMPK) et de ses plateformes de molécules de thiazolidinediones deutérées (TDZ) pour le traitement de maladies métaboliques chroniques et rares. Pour le traitement de la NASH, le **PXL065** (R-pioglitazone stabilisée par substitution au deuterium) est en cours d'évaluation dans un essai de Phase II (DESTINY-1). Le **PXL770**, un activateur direct, premier de sa classe, de la protéine kinase activée par l'adénosine monophosphate (AMPK), a terminé avec succès une étude de Phase IIa de preuve de concept pour le traitement de la NASH en atteignant ses objectifs. Dans le domaine de l'adrénoleucodystrophie (ALD), maladie métabolique héréditaire rare, la société a l'intention d'initier des études de preuve de concept de Phase IIa avec les PXL065 et PXL770 chez des patients atteints d'adrénomyélongueuropathie (AMN). **TWYMEEG®** (Imeglimine), produit phare de Poxel et premier de sa classe de médicaments, qui cible le dysfonctionnement mitochondrial,



a été approuvé au Japon et est commercialisé pour le traitement du diabète de type 2. Poxel prévoit de recevoir de Sumitomo Dainippon Pharma des redevances et des paiements basés sur les ventes. Sumitomo Dainippon Pharma est le partenaire stratégique de Poxel pour l'Imeglimine au Japon, en Chine, en Corée du Sud, à Taïwan et dans neuf autres pays d'Asie du Sud-Est. La Société entend poursuivre son développement par une politique proactive de partenariats stratégiques et le développement de son portefeuille de candidats médicaments. Poxel est cotée sur Euronext Paris, son siège social est situé à Lyon, en France, et la Société dispose de filiales à Boston aux États-Unis, et Tokyo au Japon.

Pour plus d'informations : www.poxelpharma.com.

Toutes les déclarations autres que les énoncés de faits historiques inclus dans le présent communiqué de presse au sujet d'événements futurs sont sujettes à (i) des changements sans préavis et (ii) des facteurs indépendants de la volonté de la Société. Ces déclarations peuvent comprendre, sans s'y limiter, tout énoncé précédé, suivi ou incluant des mots tels que « cibler », « croire », « s'attendre à », « viser », « avoir l'intention de », « pouvoir », « prévoir », « estimer », « planifier », « projeter », « vouloir », « pouvoir avoir », « susceptible de », « probable », « devoir », « prévisions » et d'autres mots et termes ayant un sens similaire ou la forme négative qui en découle. Les déclarations prospectives sont assujetties à des risques et à des incertitudes inhérentes indépendants de la volonté de la Société qui pourraient conduire à ce que les résultats ou les performances réels de la Société diffèrent considérablement des résultats ou des performances attendus exprimés ou sous-entendus dans ces déclarations prospectives.

Contacts - Relations investisseurs / Médias

Aurélie Bozza

Directrice senior Relations Investisseur et Communication

aurelie.bozza@poxelpharma.com

+33 6 99 81 08 36

Elisabeth Woo

Vice-président Senior, Relations Investisseurs et Communication

elisabeth.woo@poxelpharma.com

NewCap

Emmanuel Huynh ou Arthur Rouillé

poxel@newcap.eu

+33 1 44 71 94 94

