



Communiqué de presse

## **Poxel annonce l'obtention du statut « Fast Track » de la *Food and Drug Administration* (FDA) pour le PXL065 dans l'adrénoleucodystrophie liée au chromosome X (ALD)**

- **Le lancement de l'étude clinique de phase IIa de preuve de concept (POC) pour le PXL065 dans l'adrénoleucodystrophie est désormais prévu en milieu d'année, avec des résultats attendus début 2023**

**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 que la *Food and Drug Administration* (FDA) américaine a accordé le statut « Fast Track » (FTD) au PXL065 pour le traitement des patients atteints d'adrénomyélongueuropathie (AMN), la forme la plus courante d'adrénoleucodystrophie liée au chromosome X (ALD). Le PXL065 est un nouveau stéréoisomère R de la pioglitazone stabilisé par substitution au deutérium, pour lequel l'initiation d'une étude clinique de phase IIa de preuve de concept (POC) est prévue en milieu d'année.

Le Directeur Général de Poxel, Thomas Kuhn, a déclaré : « En lui attribuant le statut « Fast Track », la *Food and Drug Administration* (FDA) reconnaît au PXL065 le potentiel de répondre à un important besoin médical non satisfait pour les patients atteints d'adrénoleucodystrophie, pour laquelle il n'existe actuellement aucun traitement disponible. C'est une reconnaissance très importante et une bonne nouvelle pour les patients qui attendent un traitement. Le statut « Fast Track » confère de multiples avantages, dont la possibilité d'accélérer significativement le délai d'approbation du PXL065 dans l'ALD. Nous allons travailler en étroite collaboration avec la FDA, et préparons actuellement le lancement de notre étude clinique de phase IIa pour le PXL065, dont l'initiation est désormais prévue en milieu d'année, et les résultats attendus début 2023 ».

### **Statut « Fast Track »**

- Le statut « Fast Track » est conçu pour accélérer le développement de médicaments ayant démontré le potentiel de répondre à des besoins médicaux non satisfaits liés à des pathologies graves ou mortelles.
- Pour Poxel, le statut « Fast Track » renforcera son accès à la FDA, y compris au travers de réunions et d'échanges écrits tout au long du développement du PXL065.





- Les médicaments bénéficiant du statut « Fast Track » sont éligibles à une procédure d'autorisation accélérée et un examen prioritaire lors de la soumission d'une demande d'enregistrement d'un nouveau médicament (*New Drug Application*, NDA), ce qui peut permettre une autorisation de mise sur le marché plus rapide du produit.
- Le statut « Fast Track » permet également une revue continue, qui implique de soumettre au fil de l'eau les sections de la demande d'enregistrement d'un nouveau médicament, plutôt qu'une demande complète à la fin de son développement.

## Prochaines étapes

Le lancement de l'étude clinique de phase IIa de preuve de concept (POC) pour le PXL065 dans l'adrénoleucodystrophie liée au chromosome X (ALD) est désormais prévu en milieu d'année, avec des résultats attendus début 2023.

## Statut « Fast Track »

Créé en vertu du *FDA Modernization Act* (1997), le statut « Fast Track » peut être accordé par la *Food and Drug Administration* (FDA) à des médicaments en développement qui visent à traiter des pathologies graves ou mortelles et répondre à des besoins médicaux non satisfaits. Répondre à un besoin médical non satisfait se définit comme le fait de fournir un traitement dans une indication où il n'y en existe pas ou de fournir un traitement potentiellement meilleur que ceux existants. La FDA note que « l'objectif du programme « Fast Track » est de mettre plus rapidement à la disposition des patients de nouveaux médicaments importants<sup>1</sup> ». La demande de statut « Fast Track » doit être soumise par la Société qui développe le médicament et être accompagnée d'une analyse détaillée des données précliniques et cliniques.

Les principaux avantages du statut « Fast Track » incluent un accès simplifié à la FDA, avec des opportunités régulières et plus fréquentes de rendez-vous et de discussions. De plus, les médicaments en développement bénéficiant du statut « Fast Track » peuvent être éligibles à une procédure d'autorisation accélérée, grâce à laquelle ils peuvent être autorisés avant que les données définitives ne soient disponibles. Ils sont également éligibles à une procédure d'examen prioritaire, qui réduit de 10 à 6 mois la durée standard du processus de revue par la FDA d'une demande d'enregistrement. Le statut « Fast Track » permet également une revue continue, qui permet la soumission au fil de l'eau des sections de la demande d'enregistrement d'un nouveau médicament, ce qui accélère considérablement le processus d'approbation.

---

<sup>1</sup> 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>.



## A propos de l'ALD

L'adrénoleucodystrophie liée au chromosome X (ALD) est une maladie neurométabolique orpheline causée par des mutations du gène ABCD1 qui code pour une protéine clé nécessaire au métabolisme des acides gras à très longue chaîne (VLCFA) par les peroxysomes (organites cellulaires). L'ALD est la leucodystrophie la plus courante avec une fréquence de cas similaire à celle de l'hémophilie - jusqu'à 1/10 000 de la population globale [<https://rarediseases.org/>]. Les formes de cette maladie comprennent l'ALD cérébrale (C-ALD) et l'adrénomyélongueuropathie (AMN) - qui en est la forme la plus courante - survenant généralement chez les jeunes adultes. L'AMN est caractérisée par une axonopathie distale, chronique et progressive, impliquant les longs faisceaux de la moelle épinière et, dans une moindre mesure, les nerfs périphériques, entraînant une raideur et une faiblesse progressives des jambes, une altération de la marche et de l'équilibre, une incontinence et une perte de la sensibilité. Presque tous les hommes atteints d'ALD développeront une AMN et de nombreuses femmes avec cette mutation présentent également des caractéristiques de l'AMN, avec une apparition plus tardive. La C-ALD est caractérisée par une démyélinisation inflammatoire des cellules du cerveau et affecte généralement les enfants, mais une maladie cérébrale peut également survenir à tout moment chez des hommes atteints d'AMN ; ces lésions cérébrales de la substance blanche entraînent de graves déficits neurologiques et conduisent à la mort. Il n'y a pas de médicaments approuvés pour l'ALD (autres qu'un traitement substitutif par les glucocorticoïdes pour l'insuffisance surrénale associée). La C-ALD, lorsqu'elle est détectée pour la première fois chez l'enfant, peut être traitée par greffe de cellules souches hématopoïétiques. Cependant, les greffes de cellules souches ne sont indiqués que dans les stades très précoces de la C-ALD et présentent des risques d'effets indésirables.

## 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](http://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](mailto:aurelie.bozza@poxelpharma.com)

+33 6 99 81 08 36

Elisabeth Woo

Vice-président Senior, Relations Investisseurs et Communication

[elisabeth.woo@poxelpharma.com](mailto:elisabeth.woo@poxelpharma.com)

NewCap

Emmanuel Huynh ou Arthur Rouillé

[poxel@newcap.eu](mailto:poxel@newcap.eu)

+33 1 44 71 94 94