



Communiqué de presse

Poxel obtient la désignation de médicament orphelin (ODD) de la part de la Food and Drug Administration (FDA) pour le PXL065 et le PXL770 dans l'adrénoleucodystrophie liée au chromosome X

LYON, France, le 17 mai 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 que la Food and Drug Administration (FDA) américaine a accordé la désignation de médicament orphelin (*Orphan Drug Designation* - ODD) au PXL065 et au PXL770 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. Le PXL770 est un nouvel activateur direct de la protéine kinase activée par l'adénosine monophosphate (AMPK), premier de sa classe. Une étude clinique de phase IIa de preuve de concept (POC) sera lancée dès que possible pour chacun de ces deux candidats médicaments, sous réserve de l'obtention de financements additionnels.

Le Directeur Général de Poxel, Thomas Kuhn, a déclaré : « *L'obtention de la désignation de médicament orphelin de la part de la FDA est une étape réglementaire supplémentaire pour le développement du PXL065 et du PXL770 dans l'adrénoleucodystrophie liée au chromosome X, une indication qui ne dispose actuellement d'aucun traitement approuvé. Ce statut pourrait faire bénéficier le PXL065 et le PXL770 d'une exclusivité commerciale potentielle de sept ans après l'approbation de la FDA et, avec l'obtention récente du statut Fast Track, nous conforte dans notre volonté de poursuivre la réorientation stratégique vers les maladies rares initiée l'année dernière. Nous restons enthousiastes à l'idée de développer des traitements dans l'ALD, un domaine où les besoins médicaux non satisfaits sont très élevés. Nous préparons activement le lancement, dès que possible, de nos études cliniques de phase IIa. Pour cela, nous continuons d'étudier diverses options de financement, en donnant la priorité aux sources non dilutives, afin d'étendre notre horizon de financement* ».

Désignation de médicament orphelin (*Orphan Drug Designation* - ODD)

L'ODD est accordé par la FDA à de nouveaux traitements de maladies ou d'affections qui touchent moins de 200 000 personnes aux États-Unis. Le statut de





médicament orphelin¹ peut faire bénéficier une société d'une exclusivité commerciale potentielle de sept ans après l'approbation de la FDA, ainsi que de réductions sur certaines redevances relatives à la soumission de dossier, et de crédits d'impôt pour les dépenses liées aux essais cliniques qualifiés menés après l'obtention de la désignation orpheline.

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 peroxyosomes (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.

À propos de Poxel SA

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

¹ Pour plus d'informations sur le statut de médicament orphelin (en anglais) : <https://www.fda.gov/industry/developing-products-rare-diseases-conditions/designating-orphan-product-drugs-and-biological-products>.





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 Pharma des redevances et des paiements basés sur les ventes. Sumitomo 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, rendez-vous sur : 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