

Pharnext annonce une mise à jour réglementaire pour sa PLEODRUG™ PXT3003 dans la maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1A aux Etats-Unis

PARIS, France, le 30 Août 2019 à 08h00 (CEST) – Pharnext SA (FR0011191287 - ALPHA), société biopharmaceutique pionnière d'une nouvelle approche de développement de combinaisons de médicaments innovants basée sur les Big Data génomiques et l'Intelligence Artificielle (la « Société »), annonce aujourd'hui que l'agence de santé américaine FDA (« Food and Drug Administration ») a recommandé à la Société de conduire une étude clinique de Phase 3 supplémentaire pour le PXT3003 dans la maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1A (« CMT1A »).

Aux Etats-Unis, Pharnext a conclu ses échanges avec la FDA au sujet des résultats positifs de son étude pivot de Phase 3 PLEO-CMT, précédemment annoncés en octobre 2018, au cours de laquelle le bras de la dose élevée a été prématurément interrompu suite à un problème inattendu de stabilité de la formulation. En lien avec cet événement, la FDA a recommandé à Pharnext de conduire une étude clinique de Phase 3 supplémentaire pour les besoins du dossier d'enregistrement de PXT3003 dans la CMT1A. La FDA a reconnu la CMT1A comme une maladie présentant un besoin médical important, ayant accordé la désignation « *Fast Track* » à PXT3003 en février 2019, et encourage la Société à échanger avec elle pour finaliser un plan d'étude clinique. Le calendrier prospectif de dépôt du dossier d'enregistrement aux Etats-Unis sera ultérieurement adapté en conséquence.

« Au regard des résultats cohérents d'efficacité de PXT3003 observés dans les différentes études cliniques déjà conduites et de son très bon profil de sécurité à ce jour, nous restons profondément confiants dans le potentiel de PXT3003 comme option thérapeutique, dont les patients atteints de la CMT1A ont besoin », déclare le Professeur Daniel Cohen, fondateur et Directeur Général de Pharnext. « Nous sommes définitivement engagés, aussi rapidement que possible, dans le développement d'un plan d'étude clinique en accord avec la FDA, afin de mettre PXT3003 à disposition des patients américains atteints de la CMT1A ».

En parallèle, la Société continue son programme de développement de PXT3003 dans la CMT1A en Europe et en Chine. Pharnext poursuit activement ses efforts afin de progresser dans le processus d'enregistrement en Europe. En Chine, Pharnext et son partenaire pharmaceutique Tasly, sont engagés dans la poursuite du développement et dans le processus d'enregistrement au travers de leur joint-venture.

De plus, la Société a l'intention de maintenir les patients actuellement inclus dans l'étude d'extension de Phase 3 sous traitement jusqu'à la disponibilité commerciale de PXT3003.

À propos de l'étude de Phase 3 PLEO-CMT

En décembre 2015, Pharnext a initié PLEO-CMT, une étude pivot de Phase 3 en double aveugle de 15 mois qui a évalué l'efficacité et l'innocuité du PXT3003 chez 323 patients CMT1A âgés de 16 ans à 65

ans. En octobre 2018, il a été annoncé que PXT3003 avait atteint le critère principal d'évaluation avec une amélioration cliniquement significative de l'ONLS (*Overall Neuropathy Limitation Scale*) par rapport au placebo ($p=0,008$). En mars 2017, Pharnext a initié une étude d'extension de 9 mois en ouvert, PLEO-CMT-FU, pour laquelle les résultats sont attendus au quatrième trimestre 2019. PLEO-CMT-FU, conçue pour évaluer l'innocuité et la tolérance à long terme de PXT3003, a inclus les patients ayant terminé l'étude PLEO-CMT.

À propos de PXT3003

La PLEODRUG™ PXT3003 la plus avancée de Pharnext, issue de sa plateforme de R&D appelée PLEOTHERAPY™, est une nouvelle combinaison synergique fixe à faible dose de baclofen, naltrexone et sorbitol bénéficiant du statut de « médicament orphelin » en Europe et aux Etats-Unis. PXT3003 a montré des résultats positifs lors d'études précliniques et de Phase 2 pour le traitement de la CMT1A. Ces résultats ont été publiés dans *Orphanet Journal of Rare Diseases* (OJRD) en décembre 2014. Les études précliniques ont montré que PXT3003 inhibe la surexpression du gène PMP22, améliore la myélinisation des nerfs périphériques et les troubles cliniques moteurs et sensoriels. Dans l'essai clinique de Phase 2 mené sur 80 patients adultes atteints de CMT1A, PXT3003 s'est avéré sûr et bien toléré. PXT3003 a également montré des signes d'amélioration de plusieurs critères d'efficacité meilleurs qu'une stabilisation clinique, notamment sur l'échelle ONLS.

À propos de PHARNEXT

Pharnext est une société biopharmaceutique à un stade clinique avancé, qui développe de nouvelles thérapies pour les maladies neurodégénératives orphelines et communes actuellement sans solution thérapeutique satisfaisante. Pharnext possède deux produits en développement clinique. SYNGILITY®, dénomination du PXT3003 acceptée par l'Agence européenne des médicaments, a terminé un essai de Phase 3 international pivot avec des premiers résultats positifs dans la maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1A et bénéficie du statut de médicament orphelin en Europe et aux Etats-Unis. Le PXT864 a obtenu des résultats de Phase 2 encourageants dans la maladie d'Alzheimer. Pharnext est le pionnier d'un nouveau paradigme de découverte de médicaments basé sur les Big data génomiques et l'intelligence artificielle : PLEOTHERAPY™. Pharnext identifie et développe des combinaisons synergiques de médicaments appelées PLEODRUG™. La société a été fondée par des scientifiques et entrepreneurs de renom, notamment le professeur Daniel Cohen, un pionnier de la génomique moderne, et est soutenue par une équipe scientifique de classe mondiale.

Pharnext est cotée sur le marché Euronext Growth à Paris (code ISIN : FR0011191287).

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

Avertissement

Le présent communiqué répond à l'obligation d'information permanente de Pharnext. Il contient des déclarations prospectives relatives à Pharnext et à ses activités, y compris ses perspectives. Pharnext estime que ces déclarations prospectives reposent sur des hypothèses raisonnables. Cependant, des déclarations prospectives ne constituent pas des garanties d'une performance future, étant donné qu'elles portent sur des événements futurs et dépendent de circonstances qui pourraient ou non se

réaliser dans le futur, et de divers risques et incertitudes, dont ceux décrits dans le document de base de Pharnext qui a été enregistré auprès de l'Autorité des marchés financiers (AMF) le 2 juin 2016 sous le numéro I.16-050 ainsi que dans ses différents rapports et communiqués de presse, ces documents étant disponibles sur le site internet de la Société (www.pharnext.com), et de l'évolution de la conjoncture économique, des marchés financiers et des marchés sur lesquels Pharnext est présente. Les déclarations prospectives figurant dans le présent communiqué sont également soumises à des risques inconnus de Pharnext ou que Pharnext ne considère pas comme significatifs à cette date. La réalisation de tout ou partie de ces risques pourrait conduire à ce que les résultats réels, conditions financières, performances ou réalisations de Pharnext diffèrent significativement des résultats, conditions financières, performances ou réalisations exprimés dans ces déclarations prospectives. Pharnext décline toute responsabilité quant à la mise à jour de ces déclarations prospectives.

Le présent communiqué et les informations qu'il contient ne constituent ni une offre de vente ou de souscription, ni la sollicitation d'un ordre d'achat ou de souscription des actions ou de titres financiers de Pharnext dans un quelconque pays.

CONTACTS :**Pharnext**

Susanne Dorn
Directrice des Affaires Réglementaires
contact@pharnext.com
+33 (0)1 41 09 22 30

Communication Financière (France)

Actifin
Stéphane Ruiz
sruiz@actifin.fr
+33 (0)1 56 88 11 15

Relations Presse (Europe)

Ulysse Communication
Bruno Arabian
barabian@ulyссе-communication.com
+33 (0)1 81 70 96 30

Relations Investisseurs (U.S.)

Stern Investor Relations, Inc.
Jane Urheim
Jane.urheim@sternir.com
+1 212 362 1200

Relations Presse (U.S.)

Rooney Partners
Kate L. Barrette
kbarrette@rooneyco.com
+1 212 223 0561

Relations Investisseurs (Europe)

MC Services AG
Anne Hennecke
anne.hennecke@mc-services.eu
+49 211 529252 22