

## Pharnext et l'association de patients américaine CMTA nouent un partenariat de recherche

Ce partenariat vise à identifier et valider des biomarqueurs associés à la maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1A (CMT1A)

**PARIS, France, le 3 septembre 2020 à 8h30 (CET) – Pharnext SA (FR001191287 - ALPHA)**, société biopharmaceutique à un stade clinique avancé, pionnière d'une nouvelle approche de développement de combinaisons de médicaments innovantes basée sur les Big Data génomiques et l'intelligence artificielle, annonce aujourd'hui un partenariat de recherche avec l'association de patients américaine **Charcot-Marie-Tooth Association (CMTA)** visant à identifier et valider de nouveaux biomarqueurs associés à la maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1A (CMT1A), sous type de CMT le plus fréquent.

Le principal objectif de cette collaboration est d'identifier et valider des biomarqueurs potentiels de la CMT1A, sensibles à l'administration d'un traitement. Ces biomarqueurs pourraient alors être utilisés dans des essais cliniques futurs dont notamment la prochaine étude de Phase III de PXT3003, candidat médicament le plus avancé de Pharnext. Pharnext prévoit d'analyser les échantillons sanguins des patients atteints de CMT1A légère à modérée inclus dans la première étude clinique de Phase III de PXT3003. La collaboration portera en particulier sur TMPRSS5, biomarqueur récemment identifié et spécifique de la cellule de Schwann chez les patients atteints de CMT1A, afin de confirmer son intérêt dans l'évaluation de la réponse à un traitement dans de futurs essais thérapeutiques. De plus, TMPRSS5 étant inclus dans un large panel de biomarqueurs neurologiques potentiels, le partenariat entre Pharnext et CMTA pourrait permettre d'identifier de nouveaux biomarqueurs de la CMT1A non encore décrits.

*« Cette collaboration passionnante entre Pharnext et CMTA souligne l'importance d'associer les associations de patients aux travaux de recherche, afin de mieux comprendre la maladie mais également de développer de nouveaux traitements pour les patients atteints de CMT1A », a déclaré le Dr David Horn Solomon, Directeur Général de Pharnext. « Au travers de cette collaboration, nous souhaitons tester les échantillons sanguins prélevés lors de la première Phase III de PXT3003 pour identifier et valider de nouveaux biomarqueurs associés à la CMT1A et plus particulièrement confirmer le potentiel de TMPRSS5. Les résultats de ces analyses pourraient conduire à l'ajout de critères d'évaluation exploratoires dans la prochaine Phase III de PXT3003 devant démarrer au premier trimestre 2021. Nous pensons que ce partenariat avec CMTA permettra d'accélérer la mise à disposition d'une nouvelle thérapie pour la CMT1A, maladie n'ayant aucun traitement satisfaisant à ce jour. »*

*« En tant que représentant associatif des patients atteints de CMT, nous sommes ravis que Pharnext concentre ses activités de développement clinique sur la CMT1A », a déclaré Gilles Bouchard, Président de CMTA. « Notre partenariat avec Pharnext a pour objectif d'identifier de nouveaux biomarqueurs associés à la CMT1A, ce qui est essentiel pour mieux comprendre la physiopathologie de la maladie, mais également pour évaluer de nouvelles thérapies au cours de futurs essais cliniques. L'identification du biomarqueur TMPRSS5 est issue d'une collaboration de recherche du programme STAR (Strategy to Accelerate Research) impliquant des membres du Conseil d'Administration de CMTA, Michael Shy et John Svaren, et le consortium INC (Inherited Neuropathy Consortium). Cela pourrait amener plus rapidement à la mise à disposition d'un nouveau médicament pour les patients atteints de CMT, maladie sévère et invalidante sans traitement efficace aujourd'hui. »*

## A 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. PXT3003 a terminé un essai de Phase III 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. PXT864 a obtenu des résultats de Phase II 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, pionnier de la génomique moderne, et est soutenue par une équipe scientifique de classe mondiale. Plus d'information sur [www.pharnext.com](http://www.pharnext.com).

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

## A propos de CMTA

L'association de patients américaine CMTA est pleinement engagée dans le soutien et le financement de la recherche médicale afin de développer des thérapies pouvant à terme guérir la maladie de Charcot-Marie-Tooth (CMT). Dans le cadre de son programme STAR (*Strategy to Accelerate Research*), CMTA rassemble les meilleurs chercheurs spécialisés dans la CMT, des cliniciens et experts du développement clinique en partenariat avec les laboratoires pharmaceutiques et de biotechnologie pour développer des traitements pour la CMT. Afin d'améliorer la qualité de vie des familles confrontées à la CMT, CMTA est également impliquée dans le développement de programme et de matériel d'éducation médicale, dans l'organisation de congrès regroupant professionnels de santé et patients ; et plus globalement soutient les familles de patients grâce à ses ramifications locales au niveau nationale en Amérique du Nord et au-delà. Plus d'information sur [www.cmtausa.org](http://www.cmtausa.org).

## 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 référence enregistré auprès de l'AMF sous le numéro R.16-069 en date du 28 juillet 2016 (notamment dans son chapitre 4 incluant les risques liés aux produits et au marché de la société, risques réglementaires et juridiques, risques liés au développement clinique des produits et aux interactions avec les autorités de santé, risques liés à la mise sur le marché de ses produits), et à 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.*

*Le présent communiqué et les informations qu'il contient ne constituent pas, ni ne sauraient être interprétés comme une offre ou une invitation de vente ou de souscription, ou la sollicitation de tout ordre ou invitation d'achat ou de souscription d'actions Pharnext dans un quelconque pays. La diffusion de ce communiqué dans certains pays peut constituer une violation des dispositions légales en vigueur. Les personnes en possession du communiqué doivent donc s'informer des éventuelles restrictions locales et s'y conformer.*

**Contacts Pharnext**

**Pharnext**

David Horn Solomon  
Directeur Général  
[contact@pharnext.com](mailto:contact@pharnext.com)  
+33 (0)1 41 09 22 30

**Relations Presse (Europe)**

Ulysse Communication  
Bruno Arabian  
+33 (0)6 87 88 47 26  
[barabian@ulyse-communication.com](mailto:barabian@ulyse-communication.com)  
Pierre-Louis Germain  
+33 (0)6 64 79 97 51  
[plgermain@ulyse-communication.com](mailto:plgermain@ulyse-communication.com)  
+33 (0)1 81 70 96 30

**Relations Presse (U.S.)**

Rooney Partners  
Kate Barrette  
[kbarrette@rooneyco.com](mailto:kbarrette@rooneyco.com)  
+1 212 223 0561

**Communication Financière (France)**

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

**Relations Investisseurs (U.S.)**

Stern Investor Relations, Inc.  
Janhavi Mohite  
[janhavi.mohite@sternir.com](mailto:janhavi.mohite@sternir.com)  
+1 212 362 1200

**Contacts CMTA**

**CMTA**

Amy Gray  
Directrice Générale  
[agray@cmtausa.org](mailto:agray@cmtausa.org)

**Relations Presse**

Marcia Semmes  
[marcia@cmtausa.org](mailto:marcia@cmtausa.org)