

PARIS, France, le 29 octobre 2020 à 8h30 (CET) – Pharnext SA (FR0011191287 - 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 (« La Société ») exploitant sa plateforme de PLEOTHERAPY™, publie aujourd'hui une lettre de son Directeur Général, le Dr David Horn Solomon, à destination des actionnaires.

Madame, Monsieur, Chers Actionnaires,

L'année 2020 marque un tournant dans le développement de Pharnext, et notre objectif est de poursuivre notre croissance et notre progression sur les derniers mois de l'année et au-delà. En effet, au cours de cette année, nous avons fait plusieurs avancées majeures tant sur le plan opérationnel que sur le développement clinique. Nous avons entrepris des nominations importantes au sein de notre équipe de direction, de nouveaux administrateurs avec une solide expérience de l'industrie pharmaceutique ont rejoint notre Conseil d'Administration et enfin, étape majeure, nous avons obtenu des recommandations claires de l'agence américaine du médicament (*US FDA : Food and Drug Administration*) sur les prochaines étapes du développement de notre candidat médicament le plus avancé, PXT3003, dans le traitement de la maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1A (CMT1A), maladie rare particulièrement invalidante. Nous pensons être prêts à démarrer et conduire le second essai clinique de Phase III pivot de notre programme le plus avancé, PXT3003, dans la CMT1A.

Nos efforts sur PXT3003 et le prochain essai clinique de Phase III pivot dans la CMT1A

Nous continuons à concentrer la plupart de nos ressources sur le développement de PXT3003 dans la CMT1A, avec comme but ultime d'obtenir une autorisation de mise sur le marché de la FDA et de l'agence européenne du médicament EMA (*European Medicines Agency*). PXT3003 est une nouvelle combinaison de naltrexone, baclofène et sorbitol à prise orale, bénéficiant du statut de médicament orphelin délivré par la FDA et l'EMA. Aujourd'hui, il n'existe aucun médicament spécifiquement approuvé dans la prise en charge de la CMT1A, et PXT3003 est le candidat médicament dont le stade de développement clinique est le plus avancé. Considérant que plus de 100 000 patients sont atteints de CMT1A aux Etats-Unis et dans les 5 plus gros marchés européens avec peu de concurrence, nous pensons que le potentiel de revenus commerciaux de PXT3003, au niveau mondial, excède le milliard de dollars. Notre société a évolué et elle est pleinement engagée à mettre PXT3003 sur le marché à disposition des patients atteints de CMT1A, afin d'améliorer leur qualité de vie et soulager le poids porté par leur famille et le personnel soignant.

Évènements marquants de l'année 2020 :

Renforcement de notre équipe de direction par des recrutements à des postes clefs

J'ai rejoint Pharnext en tant que Directeur Général en avril 2020. Avec plus de 30 ans d'expérience au sein de l'industrie pharmaceutique, notamment en tant que Directeur Général de Silence Therapeutics et Zealand Pharma par le passé, j'apprécie pleinement la vision de Pharnext et le potentiel de ses candidats médicament en cours de développement.

J'ai saisi avec enthousiasme l'opportunité de diriger Pharnext au cours de ses prochaines étapes de croissance. Notre plateforme de PLEOTHERAPY™, exploitant le potentiel des *Big Data* génomiques et de l'intelligence artificielle, offre une nouvelle approche innovante dans la découverte et le développement de traitements potentiels d'une multitude de pathologies. Je remercie Daniel Cohen, en tant que fondateur visionnaire, d'avoir su explorer les opportunités offertes par la plateforme de PLEOTHERAPY™ dans le développement de notre pipeline.

En août 2020, le Dr Adrian Hepner a rejoint Pharnext en tant que Directeur Médical et de la R&D. Le Dr Hepner apporte plus de 30 ans d'expérience dans la recherche biomédicale, le développement clinique et les affaires médicales.

Précédemment, il a occupé divers postes de direction au sein d'Eagle Pharmaceuticals, Avanir Pharmaceuticals, BioDelivery Sciences International (BDSI) et UCB BioSciences, Inc. Le Dr Hepner est diplômé en Médecine et titulaire d'un Doctorat en Psychiatrie et Neurologie de l'Université de Buenos Aires. Il a également poursuivi des études postdoctorales en Neuro-psychopharmacologie à l'Université d'Ottawa et suivi diverses formations à l'Université d'Harvard. Le plein engagement d'Adrian dans ses activités de développement clinique a conduit à l'approbation de 8 médicaments.

L'équipe de direction comprend également Peter Collum, notre Directeur Financier et du *Business Development*, qui a rejoint Pharnext en Juillet 2019 après 17 années passées en banque d'affaires dans le secteur de la santé, notamment chez Bank of America et MTS Health Partners. Il a débuté sa carrière chez Roche en tant qu'ingénieur pendant 5 ans. Peter apporte à notre société une connaissance remarquable des marchés financiers et de l'industrie pharmaceutique.

Avec les autres talents de notre équipe de direction et employés de notre société, nous pensons à présent avoir une équipe solide et complète avec une grande expérience et expertise de l'industrie pharmaceutique. Forte de ces compétences, Pharnext est maintenant prête à atteindre ses objectifs stratégiques et développer des traitements pour les patients ne bénéficiant pas d'alternatives thérapeutiques satisfaisantes.

Échanges avec l'agence américaine du médicament (US FDA : Food and Drug Administration)

En juin 2020, nous avons eu un échange constructif avec la FDA sur les étapes réglementaires pouvant conduire à l'obtention d'une autorisation de mise sur le marché de PXT3003. Au cours de cet échange, nous avons pu apprécier l'ouverture de la FDA à des interactions régulières sur le développement clinique de PXT3003. Sur la base de ses recommandations, Pharnext se prépare à lancer un essai clinique de Phase III pivot supplémentaire, pour lequel la FDA a recommandé l'utilisation de l'échelle ONLS (*Overall Neuropathy Limitations Scale*) comme critère d'évaluation principal. Cette étude comprendra deux bras permettant de comparer la dose élevée de PXT3003 *versus* placebo. Je souhaiterais mentionner ici que lors de notre première étude clinique de Phase III, les patients traités avec la dose élevée de PXT3003 ont montré une réponse au traitement encourageante sur le même critère d'évaluation principal, ONLS. Nous avons pour objectif de lancer cette étude de Phase III supplémentaire avant la fin du premier trimestre 2021. En parallèle, nous poursuivons une étude d'extension en ouvert avec des patients inclus dans la première étude clinique de Phase III.

Par ailleurs, nous avons initié le 15 septembre une procédure avec la FDA appelée *Special Protocol Assessment* (SPA) afin de définir plus en détails le protocole de cette nouvelle étude clinique de Phase III pivot.

Si nous obtenons des résultats positifs à l'issue de cette deuxième étude clinique de Phase III, ceux-ci seront inclus dans la demande d'autorisation de mise sur le marché (NDA : *New Drug Application*) de PXT3003 dans l'indication CMT1A.

Nomination de nouveaux membres du Conseil d'Administration

Lors de l'Assemblée Générale des actionnaires 2020, la société a proposé des changements au sein de son Conseil d'Administration conformément à sa vision du développement et de la commercialisation de PXT3003 aux Etats-Unis et en Europe dans l'indication CMT1A. Les nouveaux administrateurs apportent un haut niveau d'expertise dans le domaine de l'industrie pharmaceutique et plus spécifiquement en développement clinique, neurologie, stratégie, transactions financières, création de valeur et gouvernance. Ces nouveaux administrateurs sont :

- Alexandre Berda – Directeur Général de CB Lux, groupe actionnaire majeur de Pharnext.
- Dr Jean Combalbert – Fondateur et Directeur Général d'Epics Therapeutics SA, Président du Conseil d'Administration de Syndesi Therapeutics SA.
- Dr Elisabeth Svanberg - Chirurgien et Professeur Adjoint de chirurgie, Directrice du Développement chez Ixaltis SA.
- Joshua Schafer – Directeur de la Stratégie et du Business Development de Mallinckrodt Pharmaceuticals et membre du Conseil d'Administration de Shuttle Pharmaceuticals.
- Dr David Horn Solomon – Directeur Général de Pharnext SA, Président du Conseil d'Administration d'Advicenne Pharma (PARIS: ADV) et Rexgenero à Londres.

- Dr Lawrence Steinman – Professeur de neurologie et de sciences neurologiques, pédiatriques et de génétique à l'Université de Stanford.

Ces nouveaux membres viennent compléter le Conseil d'Administration de Pharnext qui compte également Michel de Rosen (Président), Pierre Bastid, Kenneth Lee et le Dr Philippe Pouletty. Les biographies complètes des membres de notre Conseil d'Administration sont disponibles sur le site internet de Pharnext à l'adresse suivante : <https://pharnext.com/about>. Nous sommes convaincus d'avoir un Conseil d'Administration approprié pour nous soutenir et nous guider dans notre exercice de création de valeur et l'exécution de notre stratégie.

Démarrage d'un partenariat de recherche avec l'association de patients américaine Charcot-Marie-Tooth Association (CMTA)

En septembre dernier, nous avons noué 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 CMT1A.

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. 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 lors de futurs essais thérapeutiques. Nous sommes vraiment ravis du démarrage de ce partenariat et nous sommes impatients d'obtenir les résultats de ces travaux qui pourraient être très utiles au développement de PXT3003.

L'avenir de Pharnext

2020 a été une année très riche pour Pharnext au travers des nombreuses transformations initiées. Notre objectif est de s'appuyer sur cette nouvelle dynamique pour avancer le développement clinique de nos candidats médicaments issus de notre plateforme de PLEOTHERAPY™ et, sous la condition de l'obtention de l'autorisation de mise sur le marché auprès des autorités réglementaires, de les commercialiser. Nous souhaitons ainsi apporter de nouveaux traitements aux populations de patients que nous ciblons, qui ne disposent pas de solution thérapeutique satisfaisante. Pharnext estime que le financement nécessaire pour atteindre la fin de notre Phase III dans la CMT1A s'élève approximativement à un montant de 70 millions d'euros. Pharnext prévoit de financer ses activités de développement clinique au travers d'une ou plusieurs levées de fond placées en tout ou partie auprès d'investisseurs institutionnels actifs dans les sciences de la vie, aux Etats-Unis et en Europe, selon un calendrier et des modalités dépendant des conditions de marché. Pharnext envisage également de bénéficier de la participation de certains de ses actionnaires historiques dans cette levée de fond, montrant ainsi leur soutien dans la stratégie de la société et son développement futur.

Bien cordialement,

David Horn Solomon
Directeur Général

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. 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 et son développement sera poursuivi en partenariats. 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.

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

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. Pharnext décline toute intention ou obligation de mettre à jour ou de réviser les déclarations prospectives, que ce soit à la lumière de nouveaux renseignements, d'événements futurs ou autrement.

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, y compris les Etats Unis d'Amérique. Les titres ne peuvent être ni offerts ni cédés, y compris aux Etats-Unis d'Amérique sans enregistrement ou exemption d'enregistrement, conformément à la législation applicable. 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

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

Relations Presse (International)
Consilium Strategic Communications
Mary-Jane Elliott
Sukaina Virji
Alexandra Harrison
pharnext@consilium-comms.com

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

Relations Presse (U.S.)
Rooney Partners LLC
Jeffrey Freedman
jfreedman@rooneyco.com
+1 646 432 0191

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

Relations Investisseurs (U.S.)
Stern Investor Relations, Inc.
Janhavi Mohite
janhavi.mohite@sternir.com
+1 212 362 1200