



Pharnext précise l'agenda de l'édition 2021 de ses journées dédiées à ses activités de recherche et développement

L'événement sera accessible en présentiel à New York, ou bien virtuellement au travers d'un webcast diffusé en simultanée, le mercredi 27 octobre 2021 à partir de 14h30 CET / 8h30 ET

PARIS, France, le 21 octobre 2021 à 8h30 (CET) – Pharnext SA (FR0011191287 - ALPHA) (« La Société »), 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 exploitant sa plateforme de PLEOTHERAPY™, organise une journée dédiée à ses activités de recherche et développement (R&D) le mercredi 27 octobre 2021, de 14h30 à 16h30 CET / 8h30 à 10h30 ET, à Convene, 530 Fifth Avenue (entre 44th et 45th Streets) à New York (NY 10036). Cet événement sera également accessible virtuellement [ICI](#).

L'édition 2021 des journées dédiées aux activités R&D de Pharnext se concentrera sur son produit le plus avancé, PXT3003, dans la maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1A (CMT1A). Elle donnera l'occasion d'entendre l'équipe de direction faire un point sur les avancements de la Société et de connaître le point de vue d'experts de la CMT sur ce programme à un stade avancé de développement clinique.

Agenda :

- **08h30 CET : Accueil et introduction**
Dr. David H. Solomon, Directeur Général, Pharnext
- **08h40 CET : Présentation de la maladie CMT1A**
Les fondamentaux, les besoins médicaux non satisfaits, le poids de la maladie, le parcours de soin du patient, l'évaluation de la maladie, les attentes en matière de traitement.
Mario Saporta, MD, PhD, Professeur agrégé de Neurologie et de Génétique Humaine, Directeur du Centre d'Excellence CMT à la Faculté de Médecine Miller de l'Université de Miami (Floride, Etats-Unis), et investigateur principal en Amérique du Nord de l'essai PREMIER.
- **09h00 CET : CMT1A - Le point de vue du patient**
L'impact de la CMT1A
Allison Moore, Fondatrice et Présidente de l'association de patients HNF (*Hereditary Neuropathy Foundation*).
- **09h15 CET : PXT3003 - Traitement candidat pour la CMT1A**
Découverte, mécanisme d'action, étude de pharmacologie animale, résultats des études cliniques de Phase II et Phase III (premier essai), l'étude pivot de Phase III : l'essai PREMIER.
Adrian Hepner, MD, PhD, Directeur Médical, Pharnext
Florian P. Thomas, MD, PhD, Président Fondateur et Professeur, Département de Neurologie, Hackensack University Medical Center & Hackensack Meridian School of Medicine (New Jersey, Etats-Unis) et investigateur principal aux Etats-Unis de l'essai PLEO-CMT
Mario Saporta, MD, PhD, Professeur agrégé de Neurologie et de Génétique Humaine, Directeur du Centre d'Excellence CMT à la Faculté de Médecine Miller de l'Université de Miami (Floride, Etats-Unis), et investigateur principal en Amérique du Nord de l'essai PREMIER
- **09h45 CET : Potentiel commercial du PXT3003**
Xavier Paoli, Directeur des Opérations, Pharnext
- **09h55 CET : Conclusions**
Dr. David H. Solomon, Directeur Général, Pharnext
- **10h05 CET : Session de questions / réponses**

Les inscriptions sont désormais ouvertes et sont accessibles sur le même site que le webcast [ici](#) ou en visitant la section "Événements" du site web de Pharnext (www.pharnext.com). Un enregistrement audio et vidéo sera ensuite archivé dans la même section après l'événement.

À propos de la maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1A (CMT1A)

Les maladies de Charcot-Marie-Tooth (CMT) regroupent un ensemble hétérogène de neuropathies périphériques, héréditaires, sévères, invalidantes, progressives et chroniques. La CMT1A, sous type le plus fréquent de CMT, est une maladie orpheline avec une prévalence de 1/5000 touchant environ 150 000 personnes en Europe et aux Etats-Unis, et environ 1 500 000 personnes dans le monde. La mutation génétique à l'origine de la CMT1A est une duplication du gène PMP22 codant pour une protéine de la myéline périphérique. La duplication de ce gène induit une surexpression de la protéine PMP22 et l'incapacité des cellules de Schwann à produire une myéline normale (gaine des neurones). La gaine de myéline ainsi dégradée (structure et fonctionnalité) perturbe la conduction de l'influx nerveux au niveau des nerfs périphériques et provoque la dégradation des axones. À cause de cette dégradation des nerfs périphériques, les patients souffrent d'une atrophie musculaire progressive au niveau des jambes et des bras, entraînant des problèmes de marche, de course et d'équilibre, ainsi que des troubles de fonctionnalité des mains. Ils peuvent également souffrir de troubles sensoriels légers à modérés. Les premiers symptômes apparaissent généralement à l'adolescence et évoluent progressivement tout au long de la vie du patient. Dans les cas les plus sévères, les patients CMT1A deviennent dépendants d'un fauteuil roulant (au moins 5% des cas). À ce jour, aucun médicament curatif ou symptomatique n'a reçu d'autorisation de mise sur le marché pour la CMT1A. La prise en charge de la maladie se limite à des soins de support, tels que les orthèses, les attèles, la kinésithérapie, l'ergothérapie ou encore la chirurgie.

Plus d'information sur <https://pharnext.com/fr/disease/charcot-marie-tooth>.

À propos de PXT3003

PXT3003 est une nouvelle combinaison synergique à dose fixe de baclofène, naltrexone et sorbitol formulée sous forme de solution buvable administrée deux fois par jour. Les trois composants de PXT3003 ont été sélectionnés pour inhiber la surexpression de la protéine PMP22, et ainsi améliorer la conduction de l'influx nerveux des nerfs périphériques endommagés, élément majeur de la physiopathologie de la maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1A. PXT3003 pourrait également avoir un effet positif sur d'autres types cellulaires de l'unité motrice tels que l'axone (protection directe), les jonctions neuromusculaires ou les cellules musculaires. PXT3003 a montré des résultats prometteurs et cohérents dans les études précliniques et cliniques de Phase II et de Phase III (PLEO-CMT et PLEO-CMT-FU).

Plus d'information sur <https://pharnext.com/fr/pipeline/pxt3003>.

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 avec des premiers résultats positifs dans la maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1A (CMT1A) et bénéficie du statut de médicament orphelin en Europe et aux Etats-Unis. Une étude clinique pivot de Phase III internationale de PXT3003 dans la CMT1A, l'essai PREMIER, est actuellement en cours. 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™. Plus d'information sur <http://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 « Universal Registration Document » (URD) enregistré auprès de l'AMF sous le numéro R.20-029 en date du 9 Novembre 2020 ainsi que dans ses rapports de gestion annuels et ses communiqués de presse (documents disponibles sur le site www.pharnext.com) 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

Communication Financière (Europe)
Actifin
Ghislaine Gasparetto
ggasparetto@actifin.fr
+33 (0)6 21 10 49 24

Relations Presse (France)
Ulysse Communication
Bruno Arabian
barabian@ulyse-communication.com
+33 (0)6 87 88 47 26
+33 (0)1 81 70 96 30