

Des données sur l'impact des symptômes de la maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1A sur le quotidien des patients, issues de l'étude digitale CMT&Me, ont été publiées dans le *Journal of Clinical Neuromuscular Disease*

PARIS, France, le 14 septembre 2022 à 8h30 (CET) – Pharnext SA (FR0011191287 - ALPHA) (la « Société »), société biopharmaceutique à un stade clinique avancé développant de nouvelles thérapies pour des maladies neurodégénératives sans solution thérapeutique satisfaisante, annonce aujourd'hui la publication de données sur l'impact des symptômes de la maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1A (CMT1A) sur le quotidien des patients, issues de l'étude digitale CMT&Me, dans le *Journal of Clinical Neuromuscular Disease* (JCNMD).

CMT&Me est une étude digitale observationnelle, non-interventionnelle, lancée en octobre 2018 en Europe et aux États-Unis pour évaluer le mode de vie des patients atteints de CMT sur une durée de 5 ans. L'étude recueille de façon régulière des informations renseignées directement par les patients, tout sous-type de CMT confondus y compris la CMT1A. Son objectif est de mieux comprendre l'impact de la maladie sur leur vie quotidienne et de les aider à gérer leur maladie et leurs traitements. De plus, elle vise également à sensibiliser divers publics sur les CMTs et aider dans l'évaluation de nouveaux traitements potentiels. Cette étude est conduite par la société Vitaccess en collaboration avec des associations de patients et des médecins experts des CMTs, avec le soutien de Pharnext.

Les données montrent que chez les patients atteints du sous-type 1A de la CMT (patient CMT1A), l'impact rapporté des symptômes est élevé avec des difficultés à utiliser leurs membres, une fatigue, des douleurs et une qualité de vie altérée. La gravité perçue semble varier dans la cohorte de patients CMT1A considérée, ce qui peut s'expliquer par des différences dans les traitements prescrits, médicamenteux ou de rééducation fonctionnelle, mais aussi par des disparités dans les différents systèmes de santé et pratiques d'un pays à l'autre.

Les symptômes rapportés les plus importants sont la faiblesse au niveau des extrémités (mains et pieds), la difficulté à la marche et la fatigue. Près de la moitié des participants à l'étude ont vu la sévérité de leurs symptômes s'aggraver depuis leur diagnostic. L'anxiété et la dépression ont été signalées par plus d'un tiers des participants à l'étude, et le recours aux thérapies de rééducation fonctionnelle, traitements médicamenteux, au port d'attelles ou d'autres aides à la marche était élevé.

Prof Florian P. Thomas, MD, MA, PhD, MS, Président fondateur et Professeur, Département de Neuromige à l'Hackensack Meridian School of Medicine, Hackensack (NJ, USA) et principal investigateur de l'essai PLEOCMT aux US déclare : « *Ces premières données de l'étude digitale, CMT&Me, sur le mode de vie des patients aident à mieux comprendre les conséquences de cette maladie invalidante et progressive, pour laquelle il n'existe actuellement aucun traitement spécifique approuvé. Ces données démontrent le besoin médical élevé et non satisfait causé par les symptômes de la CMT1A, et viennent confirmer les études précédentes sur l'histoire naturelle de la maladie. Elles renseignent plus précisément ceux qui suivent la progression de leur maladie, pour leur permettre d'échanger aisément avec leurs neurologues et leurs soignants. Elles soulignent également la nécessité d'éduquer les patients et leurs soignants : pour les patients, leur donner les moyens d'exprimer leurs besoins en termes de soins, et pour les professionnels de santé de prendre conscience de la nécessité d'une prise en charge pluridisciplinaire prenant en compte l'entièreté de la maladie en incluant les ergothérapeutes, les chirurgiens du pied et de la cheville et les psychologues.* »

L'article intitulé « *Patient-Reported Symptom Burden of Charcot-Marie-Tooth Disease Type 1A: Findings From an Observational Digital Lifestyle Study* » est accessible en ligne [ici](#).

A propos de l'étude digitale CMT&Me

Lancée en 2018 sur une période de cinq ans aux États-Unis et en Europe, CMT&Me est une étude digitale évaluant le mode de vie des patients atteints de CMTs qui leur permet de rapporter, sur une application dédiée, comment cette pathologie affecte leur qualité de vie, notamment leur douleur au quotidien, leur mobilité et leur capacité à travailler. L'étude est conduite par la société Vitaccess en collaboration avec des associations de patients et des médecins experts des CMTs, avec le soutien de Pharnext.

Plus d'informations sur l'étude CMT&Me : <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03782883>.

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 États-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 Pharnext

Pharnext est une société biopharmaceutique à un stade clinique avancé, qui développe de nouvelles thérapies pour les maladies neurodégénératives 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 États-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. Les deux candidats médicaments les plus avancés de Pharnext ont été découverts avec l'approche R&D de Pleotherapy™. Pharnext attire l'attention des investisseurs sur les facteurs de risques, notamment financiers détaillés dans ses rapports financiers. Plus d'information sur www.pharnext.com/fr.

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

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@ulysses-communication.com
+33 (0)6 87 88 47 26
+33 (0)1 81 70 96 30