



Communiqué de Presse

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, seront présentées au congrès 2022 de l'*American Association of Neuromuscular & Electrodiagnostic Medicine (AANEM)*

PARIS, France, le 15 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 que des 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, seront présentées sous forme de trois posters au cours de l'*American Association of Neuromuscular & Electrodiagnostic Medicine (AANEM)* 2022. Ce congrès se tiendra physiquement du 21 au 24 septembre 2022 au *Gaylord Opryland Resort & Conference Center* de Nashville, Tennessee.

Le Dr Youcef Boutalbi, Directeur des Affaires Médicales chez Pharnext, présentera ces trois posters de l'étude CMT&Me lors des sessions I, II et III les jeudi 22 et vendredi 23 septembre. L'équipe Pharnext sera disponible pour toute discussion sur le stand n°426.

Informations sur les posters présentés à l'AANEM 2022 (<https://www.aanem.org/Meetings/Annual-Meeting>) :

Titre : *Work impacts in patients with Charcot-Marie-Tooth disease type 1A (CMT1A): results from an international digital real-world evidence study*

Numéro de poster : 89

Sessions I & II : jeudi 22 septembre, 18:00 à 18:30 & vendredi 23 septembre, 9:30 à 10:00

Titre : *Depression: Depression in patients with Charcot-Marie-Tooth disease type 1A (CMT1A): results from an international digital real-world evidence study*

Numéro de poster : 102

Sessions I & III : jeudi 22 septembre, 18:00 à 18:30 & vendredi 23 septembre, 15:30 à 16:00

Titre : *Patient-reported symptom burden of Charcot-Marie-Tooth disease Type 1A: results from an international digital real-world evidence study*

Numéro de poster : 128

Sessions I & III : jeudi 22 septembre, 18:00 à 18:30 & vendredi 23 septembre, 15:30 à 16:00

A propos de l'étude digitale CMT&Me évaluant le mode de vie des patients atteints de CMT

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 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. 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. 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