



Communiqué de presse

Poxel obtient la désignation de médicament orphelin de la Commission européenne pour le PXL770 et le PXL065 pour le traitement de l'adrénoleucodystrophie

LYON, France, le 25 janvier 2023 – POXEL SA (Euronext : POXEL - FR0012432516), société biopharmaceutique au stade clinique développant des traitements innovants pour les maladies chroniques graves à physiopathologie métabolique, dont la stéatohépatite non alcoolique (NASH) et les maladies métaboliques rares, annonce aujourd'hui que la Commission européenne a accordé la désignation de médicament orphelin (ODD) au PXL770 et au PXL065 pour le traitement de l'adrénoleucodystrophie (ALD). Cette décision fait suite à un avis favorable du comité des médicaments orphelins (*Committee for Orphan Medicinal Products - COMP*) de l'Agence européenne des médicaments (EMA). La Food and Drug Administration (FDA) des États-Unis avait déjà précédemment accordé l'ODD et le statut *Fast Track* au PXL770 et au PXL065 pour le traitement de l'ALD.

Ces deux molécules ont des mécanismes d'action distincts. Le PXL770 est un nouvel activateur direct de la protéine kinase activée par l'adénosine monophosphate (AMPK). Le PXL065 est un nouveau stéréoisomère R de la pioglitazone stabilisé par substitution au deutérium qui exerce des effets via de multiples voies non génomiques engagées par les molécules de thiazolidinedione. Deux études cliniques de phase IIa de preuve de concept (POC) pour le PXL770 et le PXL065 sont prêtes à être lancées chez des patients ALD atteints d'adrénomyéloneuropathie (AMN), sous réserve de financement.

« La désignation de médicament orphelin dans l'adrénoleucodystrophie pour le PXL770 et le PXL065 renforce encore la valeur de ces actifs cliniques, et nous préparons l'initiation des études de preuve de concept de Phase II, sous réserve de financement additionnel », a déclaré Thomas Kuhn, Directeur Général de Poxel. « Nous menons des discussions actives afin de restructurer notre dette actuelle et sécuriser le financement nécessaire pour nous permettre d'exécuter notre stratégie dans les maladies métaboliques rares ».

Désignation de médicament orphelin (*Orphan Drug Designation - ODD*)

L'ODD dans l'Union européenne est accordée par la Commission européenne sur la base d'un avis positif émis par le comité des médicaments orphelins (*Committee for Orphan Medicinal Products - COMP*) de l'Agence européenne des médicaments (EMA). Afin d'être éligible à l'ODD de la Commission européenne, un produit candidat doit être destiné à traiter, prévenir ou diagnostiquer une maladie





potentiellement mortelle, ou débilitante chronique, qui n'affecte pas plus de cinq personnes sur dix mille dans l'Union européenne. En outre, il doit disposer de suffisamment de données cliniques ou non cliniques pour suggérer qu'il puisse produire des résultats cliniquement significatifs, et des motifs indiquant qu'il peut fournir un avantage significatif par rapport à tout traitement déjà autorisé. L'obtention de la désignation de médicament orphelin par la Commission européenne permet aux entreprises de bénéficier de certains avantages et incitations, notamment une assistance à l'élaboration des protocoles cliniques, l'accès à une procédure centralisée d'autorisation de mise sur le marché valable dans tous les États membres de l'Union Européenne, des frais réglementaires réduits et dix ans d'exclusivité commerciale à la réception de l'autorisation de mise sur le marché dans l'Union Européenne. La possibilité d'une exclusivité commerciale vise à encourager le développement de médicaments pour les maladies rares en les protégeant de la concurrence de médicaments similaires dans des indications similaires, qui ne pourront pas être commercialisés pendant la période d'exclusivité.

À propos de l'ALD

L'adrénoleucodystrophie liée au chromosome X (ALD) est une maladie neurométabolique orpheline causée par des mutations du gène ABCD1 qui code pour une protéine clé nécessaire au métabolisme des acides gras à très longue chaîne (VLCFA) par les peroxyosomes (organites cellulaires). L'ALD est la leucodystrophie la plus courante avec une fréquence de cas similaire à celle de l'hémophilie - jusqu'à 1/10 000 de la population globale [<https://rarediseases.org/>]. Les formes de cette maladie comprennent l'ALD cérébrale (C-ALD) et l'adrénomyélongueuropathie (AMN) - qui en est la forme la plus courante - survenant généralement chez les jeunes adultes. L'AMN est caractérisée par une axonopathie distale, chronique et progressive, impliquant les longs faisceaux de la moelle épinière et, dans une moindre mesure, les nerfs périphériques, entraînant une raideur et une faiblesse progressives des jambes, une altération de la marche et de l'équilibre, une incontinence et une perte de la sensibilité. Presque tous les hommes atteints d'ALD développeront une AMN et de nombreuses femmes avec cette mutation présentent également des caractéristiques de l'AMN, avec une apparition plus tardive. La C-ALD est caractérisée par une démyélinisation inflammatoire des cellules du cerveau et affecte généralement les enfants, mais une maladie cérébrale peut également survenir à tout moment chez des hommes atteints d'AMN ; ces lésions cérébrales de la substance blanche entraînent de graves déficits neurologiques et conduisent à la mort. Il n'y a pas de médicaments approuvés pour l'ALD (autres qu'un traitement substitutif par les glucocorticoïdes pour l'insuffisance surrénale associée). La C-ALD, lorsqu'elle est détectée pour la première fois chez l'enfant, peut être traitée par greffe de cellules souches hématopoïétiques. Cependant, les greffes de cellules souches ne sont indiqués que dans les stades très précoces de la C-ALD et présentent des risques d'effets indésirables.



À propos de Poxel SA

Poxel est une **société biopharmaceutique dynamique** qui s'appuie sur son expertise afin de développer des **traitements innovants contre les maladies métaboliques**, dont la **stéatohépatite non-alcoolique** (NASH) et certaines maladies rares. Pour le traitement de la NASH, le **PXL065** (R-pioglitazone stabilisée par substitution au deuterium) a atteint son critère principal d'évaluation dans une étude de phase II (DESTINY-1). Dans les maladies rares, le développement du **PXL770**, un activateur direct, premier de sa classe, de la protéine kinase activée par l'adénosine monophosphate (AMPK), est centré sur l'adrénoleucodystrophie (ALD) et la polykystose rénale autosomique dominante (ADPKD). **TWYMEEG®** (Imeglimine), produit premier de sa classe de médicaments, qui cible le dysfonctionnement mitochondrial est commercialisé pour le traitement du diabète de type 2 au Japon par Sumitomo Pharma et Poxel prévoit de recevoir des redevances et des paiements basés sur les ventes. Sumitomo Pharma est le partenaire stratégique de Poxel pour l'Imeglimine au Japon, en Chine, et dans onze autres pays d'Asie. Poxel est cotée sur Euronext Paris, son siège social est situé à Lyon, en France, et la Société dispose de filiales à Boston aux États-Unis, et Tokyo au Japon.

Pour plus d'informations : www.poxelpharma.com

Toutes les déclarations autres que les énoncés de faits historiques inclus dans le présent communiqué de presse au sujet d'événements futurs sont sujettes à (i) des changements sans préavis et (ii) des facteurs indépendants de la volonté de la Société. Ces déclarations peuvent comprendre, sans s'y limiter, tout énoncé précédé, suivi ou incluant des mots tels que « cibler », « croire », « s'attendre à », « viser », « avoir l'intention de », « pouvoir », « prévoir », « estimer », « planifier », « projeter », « vouloir », « pouvoir avoir », « susceptible de », « probable », « devoir », et d'autres mots et termes ayant un sens similaire ou la forme négative qui en découle. Les déclarations prospectives sont assujetties à des risques et à des incertitudes inhérentes indépendants de la volonté de la Société qui pourraient conduire à ce que les résultats ou les performances réels de la Société diffèrent considérablement des résultats ou des performances attendus exprimés ou sous-entendus dans ces déclarations prospectives. La Société n'est pas responsable du contenu de liens externes mentionnés dans ce communiqué de presse.

Contacts - Relations investisseurs / Médias

Aurélié Bozza
Directrice senior Relations Investisseur et Communication
aurelie.bozza@poxelpharma.com
+33 6 99 81 08 36

Elisabeth Woo
Vice-président Senior, Relations Investisseurs et Communication





elizabeth.woo@poxelpharma.com

NewCap

Emmanuel Huynh ou Arthur Rouillé

poxel@newcap.eu

+33 1 44 71 94 94