



Communiqué de presse

Pharnext fait le point sur les premiers résultats de l'étude clinique pivot de Phase III (essai PREMIER) de PXT3003 dans la maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1A

PARIS, France, le 11 décembre 2023 à 8h30 (CET) – Pharnext SCA (FR001400JXB0 – ALPHA) (la « Société »), société biopharmaceutique à un stade clinique avancé développant de nouvelles thérapies pour des maladies neurodégénératives sans solution thérapeutique satisfaisante, annonce avoir obtenu les premiers résultats de l'étude clinique pivot de Phase III (essai PREMIER) de PXT3003¹, son candidat médicament dans la maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1A (CMT1A), une neuropathie périphérique rare invalidante.

L'un des principaux défis de l'analyse des résultats est la lente progression de la CMT1A et la nature subjective de certaines évaluations cliniques, qui peuvent être influencées par des effets placebo et d'entraînement. Cela rend difficile la détermination de l'impact du traitement.

Dans cet essai spécifique, l'échelle ONLS (*Overall Neuropathy Limitation Scale*), qui mesure le handicap moteur fonctionnel, n'a pas confirmé les résultats cliniques précédents. Les patients atteints de CMT1A légère à modérée ont montré des signes d'amélioration, qu'ils soient sous traitement ou sous placebo, plutôt que la dégradation lente typique de la progression naturelle de la CMT1A. Cette amélioration inattendue dans le groupe placebo rend difficile l'interprétation des résultats basés sur ce critère. Elle confirme également ce que l'ensemble de la littérature médicale indique depuis de nombreuses années, à savoir que l'ONLS est sans doute un critère pertinent sur le long terme mais pas sur une période de temps aussi courte qu'une étude clinique.

Dans le même temps, d'autres données de l'essai suggèrent qu'il n'y a pas de détérioration de l'état des patients sous traitement, ce qui est un signe positif dans le contexte d'une maladie dégénérative comme la CMT1A. Cela suggère que PXT3003 pourrait stabiliser la condition des patients, ce qui constitue une considération importante pour une maladie où la progression est généralement inévitable.

De plus, l'essai a réaffirmé le profil de haute sécurité du traitement, déjà établi dans des études précédentes. Ce profil de sécurité est crucial pour les traitements de maladies chroniques comme la CMT1A.

Compte tenu de ces premiers résultats, Pharnext prévoit de continuer à analyser les données, en particulier en collaboration avec des partenaires potentiels pour la licence ou l'acquisition de PXT3003. Cette analyse permettra de déterminer les prochaines étapes en vue d'une éventuelle autorisation de mise sur le marché.

Pharnext vise à tirer parti des données cliniques accumulées sur PXT3003 au cours de la dernière décennie, ainsi que des résultats à venir de l'essai de Phase III mené actuellement en Chine par son partenaire Tasly, qui a acquis les droits de licence pour PXT3003 en Chine en 2017.

Ces efforts font partie de l'analyse stratégique de Pharnext pour fournir une solution médicale aux patients atteints de CMT1A, qui manquent actuellement de traitements approuvés. Cette situation illustre les défis du développement de médicaments pour les maladies rares et complexes, où les critères d'essais cliniques traditionnels peuvent ne pas capturer pleinement les avantages potentiels d'un traitement. Elle souligne également l'importance de cumuler des données à long terme et la nécessité d'approches innovantes dans la conception d'essais cliniques pour de telles conditions.

Hugo Brugière, gérant de Pharnext, déclare : « *Si les résultats que nous partageons ce jour ne sont pas exactement ceux que nous attendions, ils sont pour autant porteurs de nombreux espoirs. Nous allons désormais valoriser l'ensemble des données que nous avons accumulées sur une dizaine d'années, incluant nos 2 études de Phase III et notre étude d'extension sur 6 ans, qui tendent à démontrer un effet bénéfique chez les patients.*

¹ La commercialisation de PXT3003 est conditionnée à une étude clinique pivot de Phase III (essai PREMIER) positive et à l'approbation des agences réglementaires.

Je rappelle que, aujourd'hui, PXT3003 est la seule lueur d'espoir pour tous les patients atteints de la CMT1A et qu'aucun autre candidat-médicament n'est aujourd'hui en étude clinique avancée. Il me semble donc que les résultats d'efficacité, pour un médicament qui ne présente pas de risque, peuvent permettre de soutenir une demande d'autorisation réglementaire et de mise sur le marché. C'est pour nous la dernière étape, que nous allons poursuivre aux côtés des associations de patients ».

Pour rappel, Pharnext tiendra une conférence en direct ce lundi 11 décembre 2023, à 14h00 CET, en français.

Pour y accéder :

- Option 1 : cliquer sur : <https://us02web.zoom.us/j/88004323605>
- Option 2 : ouvrir le logiciel zoom puis saisir l'ID de réunion : 880 0432 3605
- Option 3 : depuis un téléphone, composer le +33170372246 puis saisir l'ID de réunion quand demandé : 88004323605 puis # pour valider

La conférence inclura une session de questions/réponses sur la base des questions reçues par email à pharnext@actus.fr au plus tard lundi 11 décembre 2023 à 12h00 CET.

Avertissement :

La société Pharnext a mis en place (i) un financement sous forme d'OCEANE-BSA avec la société Global Tech Opportunities 13, qui, après avoir reçu les actions issues de la conversion ou de l'exercice de ces instruments, n'a pas vocation à rester actionnaire de la société, et (ii) un financement en OS qui ont été ensuite transférées à une fiducie, laquelle est à présent chargée de leur equitization.

Les actions, résultant de la conversion ou de l'exercice des titres susvisés, sont, en général, cédées dans le marché à très brefs délais, ce qui peut créer une forte pression baissière sur le cours de l'action. Au cas particulier de la fiducie, les actions sont cédées sur le marché selon les modalités fixées dans la convention de fiducie.

Les actionnaires peuvent subir une perte de leur capital investi en raison d'une diminution significative de la valeur de l'action de la société, ainsi qu'une forte dilution en raison du grand nombre de titres émis au profit de la société Global Tech Opportunities 13 et/ou de la fiducie.

Les investisseurs sont invités à être très vigilants avant de prendre la décision d'investir (ou de rester investis) dans les titres de la société admise à la négociation qui réalise de telles opérations de financement dilutives particulièrement lorsqu'elles sont réalisées de façon successive. La société rappelle que la présente opération de financement dilutif n'est pas la première qu'elle a mise en place.

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 un nouveau candidat médicament, PXT3003, en développement dans la maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1A (CMT1A), une neuropathie périphérique héréditaire, rare et invalidante. PXT3003 bénéficie du statut de médicament orphelin en Europe et aux Etats-Unis. En 2018, PXT3003 a terminé une étude clinique de Phase III, l'essai PLEO-CMT, avec des résultats préliminaires encourageants. Cet essai a été suivi d'une étude d'extension en ouvert, l'essai PLEO-CMT-FU, dans laquelle 120 patients poursuivent encore actuellement le traitement avec PXT3003. Les résultats à long terme suggèrent un bénéfice maintenu en termes de tolérance et d'efficacité, après une durée totale d'étude clinique de 6 ans. Une étude clinique pivot de Phase III internationale, l'essai PREMIER, incluant 387 patients atteints de CMT1A s'est terminée en août 2023. Les premiers résultats de l'essai PREMIER sont attendus en décembre 2023. PXT3003 a été découvert 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 : FR001400JXB0).

Contacts

Relations Presse Financière

ACTUS finance & communication
Anne-Charlotte Dudicourt
acdudicourt@actus.fr
+33 (0)1 53 67 36 32

Relation Investisseurs

ACTUS finance & communication
Jérôme Fabreguettes Leib
pharnext@actus.fr
+33 (0)1 53 67 36 78