



Communiqué de presse

Pharnext recentre ses programmes d'études cliniques sur PXT3003, candidat médicament le plus prometteur, afin d'optimiser l'allocation de ses ressources financières

PARIS, France, le 14 Février 2023 à 8h30 (CET) – Pharnext SA (FR001400BV89 - 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 sa décision stratégique de concentrer toutes ses ressources sur son candidat médicament le plus avancé, PXT3003, dans la maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1A (CMT1A), neuropathie rare, invalidante et héréditaire sans solution thérapeutique satisfaisante aujourd'hui. La Société estime que PXT3003 dans la CMT1A est sa meilleure chance de création de valeur à court terme avec des résultats de son étude clinique pivot de Phase III, l'essai PREMIER, attendus au 4^{ième} trimestre 2023.

Dans ce cadre, le Conseil d'Administration de la Société a décidé l'arrêt du développement de son candidat médicament PXT864 dans la maladie d'Alzheimer. Bien que PXT864 ait généré des résultats précliniques et cliniques intéressants et encourageants, ceux-ci restent insuffisants pour envisager une exploitation commerciale à court ou moyen terme. La poursuite du développement de PXT864 dans la maladie d'Alzheimer nécessiterait la mise en œuvre d'un plan de développement clinique complémentaire très important que la Société ne souhaite pas financer pour le moment.

Pour autant, les données obtenues dans le cadre des études cliniques menées sur PXT864 sont encourageantes et les besoins médicaux dans cette indication restent très importants. PXT864 a généré des résultats précliniques *in vitro* et *in vivo* prometteurs¹ (disponibles [ici](#)), menant à des études cliniques de Phase I et IIa chez des volontaires sains et des patients atteints de la maladie d'Alzheimer² (Poster congrès CTAD disponible [ici](#)). La poursuite du développement de PXT864 serait donc justifiée et Pharnext va poursuivre ses efforts de recherche de partenaire industriel ayant les ressources pour poursuivre le développement du PXT864 dans Alzheimer. Des sociétés ont déjà marqué leur intérêt pour obtenir une licence auprès de Pharnext et poursuivre le développement de PXT864. Si d'autres sociétés souhaitaient acquérir une licence d'exploitation sur ce produit, elles peuvent contacter Pharnext directement (contact@pharnext.com).

En parallèle, Pharnext rappelle que PXT864 a également été testé pour le traitement de la Sclérose Latérale Amyotrophique (« SLA » aussi connue sous le nom de maladie de Charcot ou maladie de Lou-Gehrig), indication pour laquelle les besoins médicaux sont également très importants. Des résultats précliniques *in vitro* et *in vivo* très encourageants ont été obtenus dans cette indication³ (disponibles [ici](#)). Pharnext évalue actuellement la meilleure stratégie de poursuite du développement de PXT864 dans la SLA (précliniques et cliniques) : licence d'exploitation à un partenaire industriel ou reprise d'un programme de développement plus poussé en interne après l'éventuel succès de la Phase III pivot de PXT3003.

Hugo Brugière, Président Directeur Général de Pharnext, déclare : « *Comme je l'ai dit au moment de ma prise de fonction, je me suis fixé trois priorités : assurer la capacité de la Société à mener à bien ses essais cliniques sur PXT3003, réduire au plus juste les besoins de financement afin de limiter le recours aux lignes de financement, et valoriser les actifs. La décision annoncée ce jour correspond parfaitement à ces trois objectifs. Pour autant, les résultats obtenus par PXT864 sur la maladie d'Alzheimer sont loin d'être anecdotiques et il est donc essentiel de pouvoir trouver le bon partenaire qui saura donner à ce produit toutes ses chances de succès. C'est à cela que les équipes Pharnext s'attachent aujourd'hui.* »

¹ Chumakov I, et al. Combining two repurposed drugs as a promising approach for Alzheimer's disease therapy. Scientific Reports (Nature) 2015 Jan 8 ;7608.

² Touchon J, et al. Direct double-blind analysis arguing for synergistic therapeutic effect of a fixed low-dose combination of acamprosate and baclofen in patients with AD. 2017 Nov 1-4. STAD Poster #LBP32BIS.

³ Boussicault L, et al. Combination of acamprosate and baclofen (PXT864) as a potential new therapy for amyotrophic lateral sclerosis. J NeuroScience Res, 2020;98(12):2435-2450.

À propos de PXT864

PXT864 désigne une combinaison synergique à dose fixe de baclofène et d'acamprosate formulée sous forme de comprimé administré deux fois par jour. Le principal mécanisme d'action présumé de PXT864 est le rétablissement de l'équilibre métabolique entre les voies excitatrices (activité du glutamate) et inhibitrices (activité de GABA) au niveau des neurones du système nerveux central.

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 5 ans. Une étude clinique pivot de Phase III internationale, l'essai PREMIER, est en cours, dans laquelle 387 patients atteints de CMT1A ont été inclus. Les premiers résultats de l'essai PREMIER sont attendus au quatrième trimestre 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 : FR001400BV89).

Contacts

Relations Presse (International)
Consilium Strategic Communications
Mary-Jane Elliott
Sukaina Virji
Alexandra Harrison
pharnext@consilium-comms.com

Relations Presse Financière
ACTUS finance & communication
Déborah Schwartz
dschwartz@actus.fr
+33 (0)1 53 67 36 35

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