PHARNEXT

PARIS, le 25 avril 2016 - Pharnext annonce aujourd'hui l'ouverture du premier centre aux Etats-Unis de PLEO-CMT, étude pivot de Phase 3 de l'un de ses principaux pléomédicaments, PXT3003, pour le traitement de la maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1A (CMT1A). L'essai clinique, dont le recrutement de patients a démarré en Europe en décembre 2015, a pour objectif de déterminer si PXT3003 est efficace et bien toléré chez les patients atteints de CMT1A. PXT3003, développé grâce à la plateforme R&D de Pléothérapie de Pharnext, est une nouvelle combinaison fixe à faible dose de (RS)-baclofène,

naltrexone
hydrochloride
et
D-sorbitol
administrée par voie orale
.

L'étude prévoit le recrutement de 300 patients, répartis dans 28 centres aux Etats-Unis
(Californi
e
, Connecticut, Florid
e
, Massachusetts, Minnesota, Missouri, New York
et
Washington)
et en
Europe (France,
Allemagne
,
Royaume-Uni
,
Espagne, Pays-Bas et Belgique
).
Ces centres seront progressivement ouverts et activ
é
s en
2016
.
Le premier centre d'étude clinique activé aux Etats-Unis se trouve à l'Université de Saint-Louis (Missouri).

Au cours de l'essai clinique exploratoire de Phase 2, PXT3003 s'est avéré sûr et bien toléré. Un e amélioration fonctionnelle des patients, au-delà de la stabilisation, a également été observée

chez
les patients CMT1A. Ces résultats sont publiés dans
la revue scientifique
Orphanet
Journal of Rare
Diseases
(
http://www.ojrd.com/content/9/1/199
).

Le Professeur Daniel Cohen, co-fondateur et président directeur général de Pharnext, déclare :

«
L
'ouverture du premier centre
aux Etats-Unis
est
une étape
important
e
de notre
essai
clinique
de
Phase
3 PLEO-CMT, après l'ouverture des premiers
centres
en France, en Allemagne et en Belgique depuis décembre 2015. Notre espoir est de voir cette étude internationale de
Phase
3 confirmer les résultats prometteurs obtenus lors des
études
précédentes
avec PXT3003
et
ainsi
d'apporter
le soulagement tant attendu par les patients atteints de
CMT1A
.
»

Allison Moore, fondatrice et présidente de l'association de patients atteints de neuropathie héréditaire aux Etats-Unis, Hereditary Neuropathy F oundation (HNF) ajoute : « Il n'existe actuellement aucun traitement pour les patients souffrant de CMT. Nous soutenons pleinement l'initiative de Pharnext dans le développement d'une thérapie efficace pour venir en aide aux patients . Nous sommes heureux de pouvoir communiquer sur cet essai clinique sur notre site internet et de renseigner les patients sur l'accès aux centres participant à l'essai. Pharnext nous soutient depuis 2014 pour sensibilis er sur la maladie de Charcot-Marie-Tooth et autres neuropathies rares, notamment avec des ressources telles que le registre des neuropathies héréditaires - Global Registry for Inherited Neuropathies - ou le programme CMTConnect (http://www.hnf-cure.org/cmt-connect) r écemment lancé aux Etats-Unis. »

A propos de la CMT1A

La maladie de Charcot-Marie-Tooth (CMT) est constituée par un groupe hétérogène de neuropathies périphériques, chroniques, héréditaires, progressives. La CMT de type 1A (CMT1A), forme la plus fréquente de CMT, est une maladie orpheline touchant au moins 100 000 personnes en Europe et aux Etats-Unis. La mutation génétique à l'origine de la CMT1A est une duplication du gène PMP 22 codant pour une protéine constituante de la myéline des nerfs périphériques. La surexpression de ce gène provoque une dégradation de la gaine des neurones (myéline) responsable du dysfonctionnement des nerfs, suivi par une perte de la conduction de l'influx nerveux. A cause de cette dégradation des nerfs périphériques, les patients souffrent d'atrophie musculaire progressive des jambes et des bras entrainant des problèmes de marche, de course et d'équilibre ; ainsi que des troubles de fonctionnalité des mains. Les patients CMT1A peuvent devenir dépendants d'un fauteuil roulant dans 5% des cas. Ils peuvent également souffrir de troubles sensoriels légers à modérés. Les premiers symptômes apparaissent durant l'adolescence et vont progressivement évoluer au cours de la vie du patient.

A ce jour, aucun médicament curatif ou symptomatique n'a reçu d'autorisation de mise sur le marché pour la CMT1A et la prise en charge consiste en des soins de support tels que les orthèses, les attèles, la kinésithérapie, l'ergothérapie ou encore la chirurgie.

A propos de l'étude PLEO-CMT

PLEO-CMT est une étude pivot de Phase 3, multicentrique, randomisée, en double aveugle, contrôlée versus placebo, comprenant trois bras, à laquelle participeront des patients âgés de 16 ans et plus, atteints de CMT1A légère à modérée. Le diagnostic de CMT1A sera confirmé génétiquement par la détection de la duplication du gène PMP 22. Sur une période de 15 mois, Pharnext comparera en bras parallèles l'efficacité et la tolérance de deux doses de PXT3003 administrées par voie orale avec le placebo. Le critère principal d'évaluation de l'efficacité sera la variation du score ONLS à 12 et 15 mois de traitement afin de mesurer l'amélioration fonctionnelle des patients sous

PXT3003
. Des critères secondaires additionnels d'évaluation incluront des mesures fonctionnelles et électrophysiologiques
. Ensuite, une étude de suivi d'une durée de neuf mois permettra aux patients ayant terminé les 15 premiers mois, de recevoir une dose active de
PXT3003
.

Pour plus d'informations sur l'essai clinique PLEO-CMT aux Etats-Unis, merci de vous connecter sur les sites internet suivants :

- Site du National Institute of Health (NIH) aux Etats-Unis : https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT02579759

- Site de l'association américaine de patients atteints de neuropathie héréditaire, Hereditary Neuropathy
Foundation
(HNF):
http://www.hnf-cure.org/clinicaltrials

A propos de Pharnext

Pharnext est une société biopharmaceutique qui développe de nouveaux traitements ciblant simultanément plusieurs mécanismes pathologiques dans des maladies neurologiques sévères, rares ou communes. La plateforme propriétaire de R&D de Pharnext s'appuie sur la pharmacologie des réseaux biologiques et est applicable à un large spectre de maladies. Elle permet le développement rapide de combinaisons synergiques de médicaments déjà utilisés dans d'autres maladies et dont le profil de sécurité est déjà établi
: les
pléomédicaments
. Les deux principaux
pléomédicaments
de
Pharnext

sont
PXT3003
pour le traitement de la maladie orpheline Charcot-Marie-
Tooth
de type 1A (Phase
3 en cours
) et PXT864 pour la maladie d'Alzheimer (Phase 2 en cours) et d'autres pathologies neurologiques (notamment la maladie de Parkinson et la sclérose latérale amyotrophique).

Pour plus d'informations, connectez-vous sur www.pharnext.com

Business Today

Site français qui donne la parole aux dirigeants d'entreprises, aussi bien à ceux du CAC 40 , que ceux de startups et de sociétés qui innovent ,

Businesstoday.fr vous renseigne sur l'activité économique en France.