

Écrit par Pharnext

Jeudi, 17 Novembre 2016 21:48 - Mis à jour Jeudi, 17 Novembre 2016 21:50

---



Paris, le 17 novembre 2016 - [Pharnext SA](#) (FR00111911287 - ALPHA), société biopharmaceutique française qui développe un portefeuille avancé de produits dans le domaine des maladies neurodégénératives, annonce aujourd'hui que le Comité Indépendant de Surveillance des Données (DSMB

: Data Safety Monitoring Board) a réalisé sa première évaluation des données de sécurité de PXT3003 dans l'étude clinique de Phase 3 PLEO-CMT

en cours. Les membres du DSMB ont pu consulter les données portant sur les 100 premiers patients inclus dans l'étude et ayant terminé au moins trois mois de traitement. Sur la base de cette analyse, le DSMB a recommandé la poursuite de l'étude telle que prévue.

L'étude pivot internationale de Phase 3 PLEO-CMT a été initiée en décembre 2015 et prévoit le recrutement de 300 patients atteints de CMT1A légère à modérée en Europe et aux Etats-Unis d'ici fin décembre 2016

Écrit par Pharnext

Jeudi, 17 Novembre 2016 21:48 - Mis à jour Jeudi, 17 Novembre 2016 21:50

---

. Les patients seront randomisés dans trois groupes

-

placebo et deux doses

de PXT300

3

- et

seront traités sur une durée

de 15 mois. PXT3003, développé

grâce à

la plateforme

R&D

de Pharnext

PLEOTHERAPIE®

,

est une

nouvelle combinaison fixe à faible dose de

(RS)-

baclofène

,

naltrexone

hydrochloride

et sorbitol,

administrée par voie orale.

Le DSMB est un groupe indépendant d'experts en pratique clinique, biostatistiques et en méthodologie d'étude, sélectionnés pour apporter des recommandations à Pharnext sur la base d'une analyse régulière et planifiée des données collectées pendant le déroulement de l'étude clinique.

Écrit par Pharnext

Jeudi, 17 Novembre 2016 21:48 - Mis à jour Jeudi, 17 Novembre 2016 21:50

---

"Nous pensons que cette étude clinique a le potentiel de marquer un tournant décisif dans les efforts fournis pour apporter un traitement efficace aux patients souffrant de CM T1A

», déclare

le Pr. Daniel Cohen, M.D.,  
Ph.D

.,

C

o-fondateur et Directeur Général de Pharnext

. «

Les options thérapeutiques actuelles sont très limitées et  
essentiellement  
de nature palliative.

Lors d'un essai clinique de phase 2, n  
otre

PLEOMEDICAMENT®

PXT3003 a déjà démontré  
son innocuité

,

un bon profil de tolérance et une amélioration fonctionnelle des  
patients  
atteints de CMT1A

.

Sur la base

de

l'évaluation positive des données de tolérance par le DSMB  
de l'étude clinique de Phase 3

, nous

sommes pleins d'

espoir

s

d'apporter, au terme

de cette étude, un traitement tant attendu

par les

patients qui souffrent de cette maladie

invalidante

.

»

Écrit par Pharnext

Jeudi, 17 Novembre 2016 21:48 - Mis à jour Jeudi, 17 Novembre 2016 21:50

---

## 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 125 000 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 entraînant 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 300 patients âgés de 16 ans et plus, atteints de CMT1A légère à modérée

Écrit par Pharnext

Jeudi, 17 Novembre 2016 21:48 - Mis à jour Jeudi, 17 Novembre 2016 21:50

---

, en Europe et aux Etats-Unis

. 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, merci de vous connecter sur le site internet suivant :

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

## À propos de PHARNEXT

Pharnext est une société biopharmaceutique à un stade avancé de développement fondée par des scientifiques et entrepreneurs de renom, dont le Professeur Daniel Cohen, pionnier de la génomique moderne. Pharnext est spécialisée dans les maladies neurodégénératives et a deux produits en développement clinique: PXT3003 est en Phase 3 internationale dans la maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1A et bénéficie du statut de médicament orphelin en Europe et aux Etats-Unis. PXT864 a obtenu des résultats de Phase 2 positifs dans la maladie d'Alzheimer.

Pharnext

est le pionnier d'un nouveau paradigme de découverte de médicaments

:

PLEOTHERAPIE®

.

La société

identifie et développe des combinaisons synergiques de médicaments

Écrit par Pharnext

Jeudi, 17 Novembre 2016 21:48 - Mis à jour Jeudi, 17 Novembre 2016 21:50

---

repositionnés à faible dose

. Ces

PLEOMEDICAMENT®

offrent des avantages

importants

:

efficacité, innocuité et propriété intellectuelle incluant plusieurs brevets de composition déjà obtenus. Pharnext est soutenue par une équipe scientifique de renommée internationale.

Pharnext est cotée sur le marché Alternext d'Euronext à Paris (code ISIN : FR00111911287).

Pour plus d'informations, connectez-vous sur [www.pharnext.com](http://www.pharnext.com)

PLEOMEDICAMENT® et PLEOTHERAPIE® sont des marques déposées par Pharnext