Paris (France), le 2 février 2017 à 8h00 (CET) - Pharnext SA (FR00111911287 - ALPHA), société biopharmaceutique française qui développe un portefeuille avancé de produits dans le domaine des maladies neurodégénératives, annonce la publication dans le journal PLoS One des résultats d'une analyse statistique évaluant l'échelle clinique CMTNS (Charcot-Marie-Tooth Neuropathy Score) dans la maladie CMT1A (Charcot-Marie-Tooth Type 1A) .

Le CMTNS a été développé afin d'évaluer la sévérité et la progression de la maladie de Charcot-Marie- Tooth (CMT). Il a été fréquemment utilisé comme critère principal d'efficacité dans des essais cliniques sur la CMT1A.

Néanmoins,
sa capacité
à mesurer de façon pertinente une réponse à un traitement n'a, à ce jou
r, pas été démontrée.

Dans l'étude intitulée « A Rasch Analysis of the Charcot-Marie-Tooth Neuropathy Score (CMTNS) in a
Cohort
of Charcot-Marie-
Tooth
Type 1A Patients
»,
les auteurs
Wenjia
Wang
et al
.
rapportent
que
le CMTNS est une mesure appropriée afin de mesurer la sévérité de la maladie CMT1A, mais semble moins sensible à l'évaluation des formes légères.
Les auteurs concluent qu'une amélioration
du CMTNS
doit être envisagé
e
pour optimiser son application
clinique
chez
les patients atteints de
toutes les formes de
CMT1A
:
légère
,
modérée
et sévère
.

Le Professeur Daniel Cohen, Co-Fondateur et Directeur Général de Pharnext, déclare « Sélectionner un critère d'efficacité pertinent représente un défi majeur lors de l'élaboration de protocoles d'essais cliniques.
Ces résultats confirment les limites du CMTNS
. Ils soutiennent la décision de
Pharnext
prise en accord avec les agences règlementaires américaines et européennes de ne
pas l'utiliser comme
critère
principal
d'efficacité dans notre étude clinique pivot de Phase 3 PLEO-CMT évaluant l'efficacité de PXT3003 chez les patients CMT1A atteints de formes légères à modérées, et de lui préférer l'ONLS (
Overall
Neuropathy
Limitations
Scale
) qui a déjà
été utilisé pour l'approbation
de traitement
dans
d'autres neuropathies périphériques.

L'échelle CMTNS est appropriée pour évaluer le degré de sévérité la CMT1A mais présente des limitations pour mesurer l'efficacité d'un traitement

L'étude est disponible ici : http://journals.plos.org/plosone/article?id=10.1371/journal.pone.0169878

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 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, initiée en décembre 2015 et qui a recruté 323 patients atteints de CMT1A légère à modérée dans 30 centres cliniques à travers l'Europe, les Etats-Unis et le Canada. Le diagnostic de CMT1A a été 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 repositionnés à faible dose. Ces PLEOMEDICAMENT® présenteraient de nombreux avantages importants: efficacité, innocuité et propriété intellectuelle solide incluant plusieurs brevets de composition déjà délivrés.
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 http://www.pharnext.com

PLEOMEDICAMENT® et PLEOTHERAPIE® sont des marques déposées, propriétés de Pharnext .