Les données de l'étude de Phase 2 suggèrent une efficacité prometteuse de PXT864 dans la maladie d'Alzheimer au stade léger. L'étude confirme également l'excellent profil d'innocuité et de tolérance de PXT864 sur 36 semaines de traitement

Paris, le 13 décembre 2016 - Pharnext SA (FR00111911287 - ALPHA), une société biopharmaceutique française qui développe un portefeuille avancé de produits dans le domaine des maladies neurodégénératives, a présenté des données positives d'une Phase 2 exploratoire de PXT864, PLEOMEDICAMENT® en développement dans la maladie d'Alzheimer, à l'occasion du 9ème Congrès dédié aux Essais Cliniques sur la Maladie d'Alzheimer (CTAD) qui s'est déroulé du 8 au 10 décembre 2016 à San Diego (Etats-Unis).

Les données collectées au cours de l'étude clinique PLEODIAL® indiquent que :

- PXT864 est bien toléré et sûr chez les patients atteints de la maladie d'Alzheimer : un excellent taux d'observance supérieur à 90%, aucun effet indésirable (EI) grave ou inattendu et aucun EI n'a nécessité une intervention médicale ou une interruption de traitement.

- PXT864 pourrait ralentir la progression des troubles cognitifs des patients atteints de la maladie d'Alzheimer au stade léger. Le critère primaire de l'étude clinique - AD Assessment Scale Cognitive Subscale (ADAS-Cog-11) - semble moins décliner dans les groupes poolés des doses 1 et 2 de PXT864 que dans un groupe placebo de patients atteints de la maladie d'Alzheimer au stade léger à modéré (groupe obtenu par méta-analyse) à la semaine 36 de l'étude.

- PXT864 pourrait être administré en association avec un traitement à dose faible de donépézil (5mg par jour) : pas de nouvel EI observé lorsque le traitement par donépézil a été administré en association avec PXT864 à partir de la semaine 24 de l'étude. De plus, l'association de PXT864

avec
le
don
épé
zil
semble montrer
une amélioration ou
au
moins
une stabilisation
du score
ADAS-Cog-11
au bout des 36 semaines de l'étude clinique
.

Ces résultats montrent une efficacité prometteuse de PXT864 qui devra être confirmée dans de futures études cliniques, tel le qu'une étude clinique de Phase 2 internationale
multicentrique
et
avec un
design adaptatif
.

« Ces résultats apportent de nouvelles preuves de l'innocuité et de l'efficacité de PXT864 chez les p
atients souffrant de la maladie d'Alzheimer au stade léger et cette étude clinique
pourrait marquer
un
tournant
dans
la recherche
d'
un traitement efficace
pour
ces patients
», déclare

Daniel Cohen, M.D., Co-Fondateur et Directeur Général de Pharnext
. «
De plus, c
es
données
apportent une validation supplémentaire de
notre approche
R&D
de
PLEOTHERAPIE
®
et nous espérons pouvoir
développer
de nouveaux traitements
pour de nombreuses
maladies grâce à de tel
les
combinaisons synergiques de médicaments.
»

René Goedkoop, M.D., Directeur Médical de Pharnext ajoute : « Les données présentées appo
rtent
des preuves encourageant
e
s
de
PXT864
comme
approche
complètement nouvelle
dans le traitement de la maladie d'Alzheimer. Il n'existe aujourd'hui aucun traitement capable
d'altérer la progression de cette
terrible
maladie.
Nous
comptons
poursuivre le développement clinique de PXT864 et espérons pouvoir a
pporter un traitement efficace
améliorant

la qualité de vie des personnes souffrant de la maladie d'Alzheimer
».

PXT864 est une nouvelle combinaison synergique fixe à faible dose de baclofène et d'acamprosate administrée par voie orale deux fois par jour sous forme de gélules. PXT864 restaurerait l'équilibre entre les voies de signalisation excitatrices et inhibitrices dans le cerveau de patients souffrants de maladies neurodégénératives (équilibre perturbé par des facteurs toxiques tels que le peptide oligomérique amyloid ß - Aß dans la maladie d'Alzheimer). La maladie d'Alzheimer est l'indication thérapeutique la plus avancée pour PTX864. Des développements dans d'autres maladies neurodégénératives dont la maladie de Parkinson et la sclérose latérale amyotrophique (SLA) sont également prévus.

A propos de la maladie d'Alzheimer

La maladie d'Alzheimer est une démence neurodégénérative progressive et irréversible. Elle se caractérise par une mort des neurones situés dans des zones du cerveau impliquées dans le contrôle de la mémoire. Ceci conduit à des déficits cognitifs comme des troubles de la pensée, de la mémoire, de la personnalité et du comportement. Habituellement, la maladie évolue et s'aggrave progressivement pendant plusieurs années pour aboutir au décès des patients. Elle affecte environ 25 millions de personnes dans le monde. Malheureusement, les trois-quarts des patients sont diagnostiqués seulement à des stades avancés. Il n'existe pas de traitement curatif pour la maladie d'Alzheimer et les thérapies actuellement disponibles ne permettent qu'un soulagement temporaire et modeste des symptômes.

A propos de l'étude clinique PLEODIAL®

L'étude PLEODIAL® est un essai clinique exploratoire, multicentrique, en simple aveugle qui a évalué 3 doses de PXT864 chez 45 patients atteints de la maladie d'Alzheimer au stade léger, naïfs de tout traitement contre la démence : les deux premières doses étaient basées sur un ratio baclofène / acamprosate identique [dose 1 et 2] et la troisième dose comportait un ratio différent [dose 3]. Les objectifs principaux de cette étude étaient d'évaluer l'innocuité, l'observance et l'efficacité préliminaire sur les troubles cognitifs et comportementaux. L'étude s'est déroulée sur une durée de 36 semaines : « PLEODIAL-I » sur les 12 premières semaines suivie par « PLEODIAL-II » sur les 24 semaines restantes. Au cours de PLEODIAL-I, les patients ont reçu PXT864 durant les 4 premières semaines (« challenge »), puis du placebo pendant 4 semaines (« dechallenge ») et enfin PXT864 sur les 4 dernières semaines (« re-challenge ») . Au cours de PLEODIAL-II, les patients ont ensuite eu la possibilité de poursuivre leur traitement avec PXT864 en recevant la même dose que celle administrée pendant PLEODIAL-I. Durant les 12 dernières semaines de l'étude, les médecins avaient la possibilité de co-administrer PXT864 avec le donépézil à une dose journalière de 5mg.
Au cours des études PLEODIAL-I et II d' une durée totale de 36 semaines, les patients ont donc été traités avec PXT864 pendant 32 semaines.
Cet essai clinique a été conduit dans 7 centres mémoire français (CMRR : Centre Mémoire de Ressource et de Recherche) de février 2013 (premier patient recruté) à décembre 2015 (dernier patient sortant de l'essai).

A 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® 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).