Paris, le 20 décembre, 2016 - Pharnext SA (FR00111911287 - ALPHA), société biopharmaceutique française qui développe un portefeuille avancé de produits dans le domaine des maladies neurodégénératives, annonce aujourd'hui la fin du recrutement de s patients dans son étude pivot internationale de Phase 3 PLEO-CMT de PXT3003, le PLEOMEDICAMENT ® le plus avancé de Pharnext, pour le traitement de la maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1A (CMT1A).

PLEO-CMT est une étude pivot de Phase 3 avec un design adaptatif, multicentrique, randomisée, en double aveugle, contrôlée versus placebo, initiée en décembre 2015 et qui a recruté 323 patients atteints de CMT1 A légère à modérée dans 30 centres cliniques à travers l'Europe, les Etats-Unis et le Canada. Les patients ont été randomisés afin de recevoir soit du placebo soit une des deux doses de PXT3003 pendant 15 mois. Le critère d'évaluation principal de cette étude clinique est la variation du score Overall Neuropathy Limitation Scale

(
ONLS
)
afin
d'évaluer
l'amélioration fonctionnelle des patients
après
12
et
15
mois de traitement avec PXT3003. Les résultats de l'étude PLEO-CMT sont attendus au cours du
deuxième semestre 2018. Les patients
auront
ensuite
la possibilité de
poursuivre le traitement
avec PXT3003
dans
une étude d'extension
d'
une durée de 9 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.

Au cours de l'essai clinique exploratoire de Phase 2, PXT3003 s'est avéré sûr et bien toléré. Une 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
).

« La finalisation du recrutement des patients dans notre étude clinique pivot de Phase 3 de PXT3003 représente une étape import ante et souligne le professionnalisme de nos équipe s des opérations cliniques et de direction , mais également l'engagement de nos nombreux sites cliniques, de nos investigateurs et de la communauté de patients, » déclare René Goedkoop, M.D., Directeur Médical de Pharnext.

Daniel Cohen, M.D., Ph.D., Co-Fondateur et Directeur Général de Pharnext ajoute : « Cette étude clinique est extrêmement importante pour tous les patients souffrant de CMT1A pour laquelle il n'existe à ce jour que de s soins palliatifs . Notre PLEOMEDICAMENT ®

représente un grand
espoir pour
tous
les patients atteints
de cette maladie invalidante
.»

Michael W. Sereda, M.D., Professeur de Neurologie à l'Institut Max Planck, Göttingen déclare :
«
PXT3003 s'est révélé très prometteur dans les précédentes études précliniques et cliniques
. Les
données
publiées par
Pharnext à ce jour positionnent PXT3003
comme un
candidat médicament
majeur
et sûr pour les patients
atteints de CMT1A. Cette étude de Phase 3 nous rapproche un peu plus de notre objectif
:
offrir à nos
patients
un traitement efficace capable d'altérer la progression de cette maladie
évolutive
.
»

Allison Moore, Fondatrice et Présidente de l'association de patients Hereditary Neuropathy Fou
ndation
(HNF)
ajoute :
«

Nous sommes très heureux d'avoir
eu
l'opportunité de contribuer à ces travaux de recherche
novateurs
en participant à l'identification de
s
centres
d'étude clinique
aux Etats-Unis et
en soutenant le
recrutement de
s
patients
dans
cette étude pivot de Phase
3 de PXT3003.
Les ressourc
es d'
HNF,
tels que
l
e
registre de patients Global
Regist
ry
for
Inherited
Neuropathies (GRIN
)
, la co
mmunauté
en ligne de patient
s
CMT
hébergée sur la plateforme INSPIRE
ou le programme récemment lancé, CMT
Connect
,
se sont avérées essentielles.
Nous
sommes enthousiastes
à l'idée que nos efforts conjoints avec Pharnext
pourraient conduire à la mise à disposition de nouvelles thérapies
aux patients souffrants de CMT1A
.
N

ous sommes impatients de
poursuivre
cette
collaboration sur les prochaines années.
»

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® 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).