



## **Pharnext soutient la lutte contre les maladies rares en développant des traitements fondés sur la pléothérapie**

**Paris, le 16 février 2016** – Pharnext réaffirme son soutien et son engagement contre les maladies rares à l’occasion de la Journée Mondiale des Maladies Rares qui se tiendra le 29 février prochain. Pharnext s’implique largement dans le développement de nouveaux traitements fondés sur la pléothérapie, en s’appuyant sur son approche de pharmacologie des réseaux, pour les patients atteints de maladies neurologiques rares ou d’autres troubles neurologiques où le besoin médical reste important.

Les 6 000 maladies rares existantes affectent environ 580 millions de personnes dans le monde dont 60 millions en Europe et en Amérique du Nord. La grande majorité des malades souffrent de l’absence de traitements sûrs et efficaces de leurs pathologies, et également d’un manque d’informations actualisées sur leurs maladies.

Les pléomédicaments de Pharnext sont des combinaisons synergiques à faible dose de médicaments déjà utilisés pour d’autres maladies avec un profil de tolérance connu. Ces thérapies innovantes en cours de développement visent simultanément plusieurs cibles de la maladie, tout en offrant potentiellement un excellent profil d’innocuité et d’efficacité, caractéristiques essentielles pour les patients souffrant de maladies rares invalidantes.

Pharnext développe deux candidats médicaments majeurs dans le traitement de maladies neurologiques sévères orphelines :

- **Le PXT-3003 dans le traitement de la maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1A (CMT 1A) actuellement en essai clinique pivot international de Phase 3.** A l’heure actuelle, il n’existe aucun médicament curatif ou symptomatique approuvé pour les patients atteints de CMT1A. La prise en charge de cette maladie neuromusculaire rare se limite à des soins de support.
- **Le PXT-864 dans le traitement de la sclérose latérale amyotrophique (SLA) dont l’essai clinique de Phase 1 est terminé.** La SLA ou maladie de Charcot est une maladie neurodégénérative grave mettant en jeu le pronostic vital. Les traitements actuels approuvés n’ont que peu d’impact sur l’espérance de vie et n’améliorent pas la qualité de vie des patients.

Le Professeur Daniel Cohen, M.D., Ph.D., président directeur général et co-fondateur de Pharnext, déclare « *Nous sommes tout à fait déterminés à développer de nouvelles thérapies sûres et efficaces pour les patients souffrants de maladies rares. Pour Pharnext, chaque patient compte et mérite les meilleures solutions thérapeutiques.* »

### **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 PXT-3003 pour le traitement de la maladie orpheline Charcot-Marie-Tooth de type 1A (Phase 3 en cours) et PXT-864 pour la maladie d'Alzheimer (Phase 2a terminée) 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](http://www.pharnext.com)

###

**Contacts:**

**Contact Pharnext**

Professeur Daniel Cohen

Président Directeur Général

[medical@pharnext.com](mailto:medical@pharnext.com)

**Contacts Média**

Florence Portejoie et Caroline Carmagnol

ALIZE RP

T : +33 1 44 54 36 64

[pharnext@alizerp.com](mailto:pharnext@alizerp.com)

Tony Russo, Ph.D.

Matt Middleman, M.D.

Russo Partners

T: 212-845-4251

T: 212-845-4272

[tony.russo@russopartnersllc.com](mailto:tony.russo@russopartnersllc.com)

[matt.middleman@russopartnersllc.com](mailto:matt.middleman@russopartnersllc.com)