

Pharnext continue de préparer activement le dossier d'approbation de PXT3003 dans la maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1A (CMT1A)

Madame, Monsieur, Cher Actionnaire,

Je souhaite rappeler certains éléments concernant le processus d'approbation d'un médicament en général et de PXT3003 en particulier mais également porter à votre attention les règles de communication s'imposant à Pharnext au cours de cette phase importante. Cela permettra d'apporter des réponses aux questions exprimées par certains d'entre vous et par des patients.

Le développement clinique du PXT3003 dans la CMT1A est en phase de constitution de son dossier d'enregistrement auprès des autorités de santé américaines (« FDA ») et européennes (« EMA »).

1. Pharnext a engagé un dialogue avec la FDA pour préparer son dossier de demande d'approbation aux USA de PXT3003 pour le traitement de la CMT1A.
2. Cette étape n'est pas celle de l'examen du dossier de demande d'autorisation de mise sur le marché : ce dossier n'a pas encore été déposé.
3. La rédaction de ce dossier nécessite une phase préparatoire qui prenne en compte les particularités de ce programme CMT1A. Ces particularités sont impliquées dans l'interprétation des résultats. Elles sont connues de nos actionnaires. Je crois néanmoins utile de les rappeler :
 - Spécifique à l'approche innovante de Pharnext, la première particularité est qu'il s'agit, pour la première fois pour les autorités réglementaires, d'une triple combinaison à faible dose de médicaments dont, à l'inverse du traitement du SIDA par exemple, on ne sait pas si chacun d'eux est, séparément, efficace sur la maladie.
 - La deuxième particularité porte sur la stabilité de la formulation de la dose la plus élevée. Comme vous le savez, un événement imprévisible a imposé l'arrêt de cette formulation conduisant à réduire le nombre de patients dans l'essai. Dans ce contexte, Pharnext a mis en œuvre des méthodes statistiques robustes et conformes aux recommandations récemment édictées en la matière (directive ICH).
 - La troisième particularité est l'absence de standard dans l'évaluation de l'efficacité d'un traitement dans cette maladie.
4. Pharnext a traité ces particularités avec rigueur et précision grâce, notamment, au concours d'experts réglementaires, scientifiques, biostatisticiens et médicaux de haut niveau international. Pharnext souhaite que le dossier de demande d'approbation soit le plus solide possible. C'est l'intérêt des échanges en cours avec la FDA.

5. Le dossier de demande de mise sur le marché n'est pas encore déposé. Ce dépôt est prévu d'être initié pour le premier trimestre 2020. Je rappelle que les agences réglementaires ne peuvent se prononcer sur une approbation que sur la base d'un dossier déposé et complet, et après acceptation du dépôt du dossier.
6. Nous sommes au cœur d'une période importante pour le PXT3003 mais nous devons respecter un devoir de réserve. Les autorités réglementaires sont tenues de traiter confidentiellement le contenu de ces phases d'interactions consultatives et non décisionnaires. Étant donné que les interactions avec la FDA sont toujours en cours, Pharnext en partagera les conclusions une fois qu'elles seront établies. Par ailleurs, l'ensemble des données de l'étude PLEO-CMT doit faire l'objet d'une publication dans une grande revue scientifique internationale. Or ce type de revue à comité de lecture très exigeant impose un embargo médiatique jusqu'à la publication de ces résultats. Cette publication soutiendra le dossier de demande de mise sur le marché mais aussi d'autorisation temporaire d'utilisation (les ATU) dans certains pays.
7. Au final, cher Actionnaire, je suis, comme vous, impatient de voir PXT3003 approuvé et commercialisé. Toute l'équipe qui m'entoure est focalisée sur cet objectif. Je tiens à réaffirmer ma confiance dans les résultats des différents travaux et essais cliniques réalisés. Je répète aussi qu'il appartiendra aux autorités réglementaires, seules décisionnaires en la matière, de se prononcer sur l'acceptabilité et l'évaluation du dossier d'approbation, une fois son dépôt effectif. D'ici-là, je veux éviter tout message inapproprié.

Recevez l'assurance que, dans ce cadre, PHARNEXT continuera de communiquer en temps utile sur ce projet magnifique.

Daniel Cohen, co-fondateur, Directeur Général