



*Communiqué de presse*

## **Poxel annonce sa participation prochaine à des conférences scientifiques consacrées à l'adrénoleucodystrophie (ALD)**

**LYON, France, le 27 septembre 2021** - [POXEL SA](#) (Euronext - POXEL - FR0012432516), société biopharmaceutique spécialisée dans le développement de traitements pour les maladies chroniques avec physiopathologie métabolique, dont la stéatohépatite non alcoolique (NASH) et les maladies rares, annonce aujourd'hui sa participation à plusieurs conférences scientifiques consacrées à l'adrénoleucodystrophie liée au chromosome X (ALD), une maladie neurométabolique orpheline grave et pour laquelle il n'existe pas de traitement actuellement.

En lien avec la nouvelle orientation stratégique de Poxel, visant à renforcer sa présence dans les maladies métaboliques rares, l'équipe scientifique de Poxel présentera des données et détaillera ses projets dans l'ALD.

Poxel prévoit d'initier début 2022 des études cliniques de Phase IIa de preuve de concept pour le PXL065 et le PXL770, auprès de patients atteints d'adrénomyélongueuropathie (AMD), la forme la plus courante de l'ALD qui affecte le système nerveux et les glandes surrénales. Les résultats seront attendus fin 2022.

A travers cette nouvelle orientation stratégique, Poxel souhaite enrichir son pipeline en ciblant les indications métaboliques rares à haute valeur ajoutée ainsi que la NASH, avec l'objectif de créer des synergies dans son portefeuille de produits en développement, d'utiliser ses ressources de manière optimale et de créer de la valeur pour ses actionnaires.

### **Prochaines conférences scientifiques**

- **11<sup>e</sup> réunion internationale consacrée à l'AMPK - Evian-les-Bains, France** (en présentiel)  
**Date: du 26 au 30 septembre**

Les membres de l'équipe Poxel présenteront les sujets suivants :

- « Caractérisation du PXL770, un activateur direct de l'AMPK, premier de sa classe, pour le traitement de la NASH et d'autres maladies métaboliques : du stade préclinique au stade clinique » (*Characterization of a first-in-class direct AMPK activator, PXL770, for NASH and other metabolic disorders:*



*From Preclinical to Clinical*”) par Sophie Bozec, PhD, Vice-Présidente Senior, Pharmacologie & Communication Scientifique, le 27 septembre à 15 heures.

- « Intérêt thérapeutique potentiel d’un activateur de l’AMPK pour le traitement de l’adrénoleucodystrophie liée au chromosome X » (*“Potential therapeutic utility of direct AMPK activators for X-linked adrenoleukodystrophy”*) par Pierre-Axel Monternier, Senior Manager, Pharmacologie, le 28 septembre à 9 heures 30.

- **Congrès mondial de neurologie** (format virtuel)  
**Date: du 3 au 7 octobre**

Poxel y présentera un poster intitulé : « Validation de l’activation directe de l’AMPK pour le traitement de l’adrénoleucodystrophie liée au chromosome X » (*“Validation of Direct AMP Kinase Activation for Treatment of X-linked Adrenoleukodystrophy”*).

- **Sommet de l’Organisation nationale pour les maladies rares (NORD)** (format virtuel)  
**Date: du 18 au 19 octobre**

Poxel y présentera deux posters intitulés : « R-pioglitazone – PXL065 – pour le traitement de l’adrénoleucodystrophie liée au chromosome X (ALD) » ; et « Validation de l’activation directe de l’AMPK pour le traitement de l’adrénoleucodystrophie liée au chromosome X (ALD) » (*“(R)-pioglitazone – PXL065 – for Treatment of X-Linked Adrenoleukodystrophy (ALD)”* and *“Validation of Direct AMP Kinase (AMPK) Activation for Treatment of X-Linked Adrenoleukodystrophy (ALD)”*).

- **Réunion annuelle ALD Connect** (format virtuel)  
**Date: du 12 au 13 novembre**

Des membres de l’équipe scientifique seront présents et feront des présentations.

### **A propos de l’ALD**

L’adrénoleucodystrophie liée au chromosome X (ALD) est une maladie neurométabolique orpheline causée par des mutations du gène ABCD1 qui code pour une protéine clé nécessaire au métabolisme des acides gras à très longue chaîne (VLCFA) par les peroxysomes (organites cellulaires). L’ALD est la leucodystrophie la plus courante avec une fréquence de cas similaire à celle de l’hémophilie - jusqu’à 1/10 000 de la population globale [<https://rarediseases.org>]. Les formes de cette maladie comprennent l’ALD cérébrale (C-ALD) et l’adrénomyéloneuropathie (AMN) - qui est la forme la plus courante - survenant généralement chez les jeunes adultes. L’AMN est caractérisée par une axonopathie distale, chronique et progressive, impliquant les longs faisceaux de la moelle épinière et, dans une moindre mesure, les



nerfs périphériques, entraînant une raideur et une faiblesse progressives des jambes, une altération de la démarche et de l'équilibre, une incontinence et une perte de sensation. Tous les hommes sont atteints et de nombreuses femmes présentent également des caractéristiques de l'AMN, avec une apparition plus tardive. La C-ALD est caractérisée par une démyélinisation inflammatoire des cellules du cerveau et affecte généralement les enfants, mais une maladie cérébrale peut également survenir à tout moment chez des hommes atteints d'AMN ; ces lésions cérébrales de la substance blanche entraînent de graves déficits neurologiques et la mort. Il n'y a pas de médicaments approuvés pour l'ALD (autres qu'un traitement substitutif par les glucocorticoïdes pour l'insuffisance surrénale associée). La C-ALD, lorsqu'elle est détectée pour la première fois dans la petite enfance, peut être traitée par greffe de cellules souches hématopoïétiques. Cependant, les greffes de cellules souches ne sont indiqués que dans les stades très précoces de la CALD et présentent des risques d'effets indésirables.

### **A propos de Poxel**

Poxel est une **société biopharmaceutique dynamique** qui s'appuie sur son expertise afin de développer des **traitements innovants contre les maladies métaboliques**, dont le **diabète de type 2** et la **stéatohépatite non-alcoolique (NASH)** et certaines maladies rares. La Société dispose actuellement de programmes cliniques et opportunités à un stade précoce de développement provenant de son activateur de la protéine kinase activée par l'adénosine monophosphate (AMPK) et de ses plateformes de molécules de thiazolidinediones deutérées (TDZ) pour le traitement de maladies métaboliques chroniques et rares. Pour le traitement de la NASH, le **PXL065** (R-pioglitazone stabilisée par substitution au deuterium) est en cours d'évaluation dans un essai de Phase II (DESTINY-1). **PXL770**, un activateur direct, premier de sa classe, de la protéine kinase activée par l'adénosine monophosphate (AMPK), a terminé avec succès une étude de Phase IIa de preuve de concept pour le traitement de la NASH en atteignant ses objectifs. Dans le domaine de l'adrénoleucodystrophie (ALD), maladie métabolique héréditaire rare, la société a l'intention d'initier des études de preuve de concept de Phase IIa avec les PXL065 et PXL770 chez des patients atteints d'adrénomyélongueuropathie (AMN). **TWYMEEG®** (Imeglimine), produit phare de Poxel et premier de sa classe de médicaments, qui cible le dysfonctionnement mitochondrial, a été approuvé au Japon et est commercialisé pour le traitement du diabète de type 2. Poxel prévoit de recevoir de Sumitomo Dainippon Pharma des paiements basés sur les ventes et des redevances. Sumitomo Dainippon Pharma est le partenaire stratégique de Poxel pour l'Imeglimine au Japon, en Chine, en Corée du Sud, à Taïwan et dans neuf autres pays d'Asie du Sud-Est. La Société entend poursuivre son développement par une politique proactive de partenariats stratégiques et le développement de son portefeuille de candidats médicaments. Poxel est cotée sur Euronext Paris, son siège social est situé à Lyon, en France, et la Société dispose de filiales à Boston aux États-Unis, et Tokyo au Japon.

Pour plus d'informations : [www.poxelpharma.com](http://www.poxelpharma.com).

Toutes les déclarations autres que les énoncés de faits historiques inclus dans le présent communiqué de presse au sujet d'événements futurs sont sujettes à (i) des



changements sans préavis et (ii) des facteurs indépendants de la volonté de la Société. Ces déclarations peuvent comprendre, sans s'y limiter, tout énoncé précédé, suivi ou incluant des mots tels que « cibler », « croire », « s'attendre à », « viser », « avoir l'intention de », « pouvoir », « prévoir », « estimer », « planifier », « projeter », « vouloir », « pouvoir avoir », « susceptible de », « probable », « devoir », « prévisions » et d'autres mots et termes ayant un sens similaire ou la forme négative qui en découle. Les déclarations prospectives sont assujetties à des risques et à des incertitudes inhérentes indépendants de la volonté de la Société qui pourraient conduire à ce que les résultats ou les performances réels de la Société diffèrent considérablement des résultats ou des performances attendus exprimés ou sous-entendus dans ces déclarations prospectives.

## **Contacts**

### **Poxel SA**

Catherine David  
Communication et relations investisseurs  
[catherine.david@poxelpharma.com](mailto:catherine.david@poxelpharma.com)  
+33 7 64 57 61 78

Aurélié Bozza  
Directrice communication et relations investisseur  
[aurelie.bozza@poxelpharma.com](mailto:aurelie.bozza@poxelpharma.com)  
+33 6 99 81 08 36

Elizabeth Woo  
Senior Vice-Président, Relations Investisseurs, Communication Corporate et Relations publiques  
[elizabeth.woo@poxelpharma.com](mailto:elizabeth.woo@poxelpharma.com)

### **Relations investisseurs / Médias - France**

NewCap  
Emmanuel Huynh / Arthur Rouillé  
[poxel@newcap.eu](mailto:poxel@newcap.eu)  
+33 (0)1 44 71 20 42 / +33 1 44 71 94 94

### **Relations investisseurs / Médias – Europe / Etats-Unis**

Trophic Communications  
Stephanie May / Valeria Fisher  
[poxel@trophic.eu](mailto:poxel@trophic.eu)  
+49 171 351 2733 / +49 175 804 1816