



Communiqué de presse

Poxel obtient la désignation de médicament orphelin (ODD) de la *Food and Drug Administration* (FDA) pour le PXL770 dans le traitement de la polykystose rénale autosomique dominante (ADPKD)

- **Des études précliniques ont démontré le potentiel du PXL770 pour un développement de Phase II dans le traitement de l'ADPKD**
- **Les données d'efficacité issues d'études précliniques confirment l'intérêt de l'orientation stratégique du PXL770 dans les maladies métaboliques rares**

LYON, France, le 3 octobre 2022 – POXEL SA (Euronext : POXEL - FR0012432516), société biopharmaceutique au stade clinique développant des traitements innovants pour les maladies chroniques graves à physiopathologie métabolique, dont la stéatohépatite non alcoolique (NASH) et les maladies métaboliques rares, annonce aujourd'hui que la *Food and Drug Administration* (FDA) a accordé la désignation de médicament orphelin (ODD) au PXL770 pour le traitement des patients atteints de polykystose rénale autosomique dominante (ADPKD). Le PXL770 est un nouvel activateur direct de la protéine kinase activée par l'adénosine monophosphate (AMPK), prêt à entrer en développement de Phase II pour le traitement de l'ADPKD, sous réserve de financements supplémentaires.

Thomas Kuhn, Directeur Général de Poxel, a déclaré : « *Compte tenu de nos données précliniques prometteuses, le développement du PXL770 sera centré exclusivement sur les maladies rares. L'obtention de la désignation de médicament orphelin pour le PXL770 dans le traitement de l'ADPKD renforce la valeur de notre programme, qui, sous réserve de financements supplémentaires, est prêt à poursuivre son développement en Phase II. L'ADPKD est une maladie rénale chronique héréditaire, pour laquelle les besoins médicaux restent très élevés à l'heure actuelle, le seul médicament approuvé présentant d'importants problèmes de sécurité et de tolérance. La physiopathologie de l'ADPKD implique une altération du métabolisme rénal et il existe un rationnel fort en faveur d'une approche thérapeutique basée sur l'activation de l'AMPK. Cet été, nous avons finalisé l'évaluation préclinique du PXL770 dans l'ADPKD, qui a démontré l'efficacité du PXL770 dans des tests in vitro réalisés sur des cellules de kystes issues de patients atteints d'ADPKD, et dont les résultats ont été présentés récemment lors de réunions scientifiques. La préparation de la poursuite du développement de ce programme et des interactions réglementaires sont en cours* ».



Poxel a récemment annoncé que, sur la base de données prometteuses qui ont montré un fort potentiel dans de multiples indications métaboliques rares, le développement du PXL770 sera centré exclusivement sur les maladies rares, et tout d'abord l'adrénoleucodystrophie (ALD) et l'ADPKD.

Les résultats précliniques du PXL770 dans l'ADPKD ont été présentés lors de deux récentes réunions scientifiques :

- Le 59^{ème} « European Renal Association Congress » qui s'est tenu à Paris du 19 au 22 mai 2022 (Pascale Gluais, Directeur Pharmacologie, Poxel)
- Le 5^{ème} « European Workshop on AMPK and AMPK-related kinases » qui s'est déroulé à Glasgow du 27 au 29 septembre (Sophie Bozec, Vice-Président Senior, Pharmacologie & Communication Scientifique, Poxel).

Désignation de médicament orphelin (*Orphan Drug Designation - ODD*)

L'ODD est accordée par la FDA à de nouveaux traitements de maladies ou d'affections qui touchent moins de 200 000 personnes aux États-Unis. Le statut de médicament orphelin ¹ peut faire bénéficier une société d'une exclusivité commerciale potentielle de sept ans après l'approbation de la FDA, ainsi que de réductions sur certaines redevances relatives à la soumission de dossier, et de crédits d'impôt pour les dépenses liées aux essais cliniques qualifiés menés après l'obtention de la désignation orpheline.

À propos de l'ADPKD

La polykystose rénale autosomique dominante (ADPKD) constitue la quatrième cause d'insuffisance rénale et est l'une des maladies génétiques les plus courantes et potentiellement mortelles. Dans l'ADPKD, des kystes remplis de liquide se développent et grossissent dans les deux reins, pouvant entraîner une insuffisance rénale. Les principaux symptômes cliniques de l'ADPKD sont les douleurs abdominales, symptômes urinaires, kystes au niveau du foie et des complications cardiovasculaires associées. Plus de 50 % des personnes atteintes d'ADPKD développeront une insuffisance rénale avant l'âge de 50 ans. Pour les personnes atteintes d'insuffisance rénale, la dialyse ou une greffe sont les seules options thérapeutiques disponibles.

¹ Pour plus d'informations sur le statut de médicament orphelin (en anglais) : <https://www.fda.gov/industry/developing-products-rare-diseases-conditions/designating-orphan-product-drugs-and-biological-products>.



À propos du PXL770

Le PXL770 est un activateur direct de la protéine kinase activée par l'adénosine monophosphate (AMPK). L'AMPK est un régulateur clé de multiples voies métaboliques permettant de contrôler le métabolisme lipidique, l'homéostasie du glucose, l'inflammation, et diverses autres fonctions cellulaires. Sur la base de son rôle métabolique central, le ciblage de l'AMPK offre l'opportunité de poursuivre un large éventail d'indications pour traiter les maladies métaboliques chroniques.

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 la **stéatohépatite non-alcoolique (NASH)** et certaines maladies rares. Pour le traitement de la NASH, le **PXL065** (R-pioglitazone stabilisée par substitution au deuterium) a atteint son critère principal d'évaluation dans une étude de phase II (DESTINY-1). Dans les maladies rares, le développement du **PXL770**, un activateur direct, premier de sa classe, de la protéine kinase activée par l'adénosine monophosphate (AMPK), est centré sur l'adrénoleucodystrophie (ALD) et la polykystose rénale autosomique dominante (ADPKD). **TWYMEEG®** (Imeglimine), produit premier de sa classe de médicaments, qui cible le dysfonctionnement mitochondrial est désormais commercialisé pour le traitement du diabète de type 2 au Japon par Sumitomo Pharma et Poxel prévoit de recevoir des redevances et des paiements basés sur les ventes. Sumitomo Pharma est le partenaire stratégique de Poxel pour l'Imeglimine au Japon, en Chine, et dans onze autres pays d'Asie. 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.

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 », 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. La Société n'est pas responsable du contenu de liens externes mentionnés dans ce communiqué de presse.



Contacts - Relations investisseurs / Médias

Aurélie Bozza
Directrice senior Relations Investisseur et Communication
aurelie.bozza@poxelpharma.com
+33 6 99 81 08 36

Elisabeth Woo
Vice-président Senior, Relations Investisseurs et Communication
elisabeth.woo@poxelpharma.com

NewCap
Emmanuel Huynh ou Arthur Rouillé
poxel@newcap.eu
+33 1 44 71 94 94