



Communiqué de presse

Poxel publie ses résultats financiers pour le premier semestre 2021 et dresse un bilan de ses activités

- **Renforcement de la situation financière avec l'approbation de TWYMEEG® (chlorhydrate d'Imeglimine) au Japon pour le traitement du diabète de type 2, avec :**
 - le versement de la troisième et dernière tranche du prêt IPF pour 13,5 millions d'euros - inclus dans la position de trésorerie et équivalents de trésorerie du deuxième trimestre de 36,9 millions d'euros
 - un paiement d'étape de 1,75 milliard de yens japonais (environ 13,2 millions d'euros, 15,8 millions de dollars américains)¹ par Sumitomo Dainippon Pharma à Poxel en juillet 2021 (non inclus dans la position de trésorerie et équivalents de trésorerie du deuxième trimestre)
- **Nouvelle orientation stratégique axée sur les maladies métaboliques rares et maintien de l'engagement de Poxel dans le traitement de la stéatohépatite non alcoolique (NASH) à travers :**
 - la finalisation du recrutement des patients dans l'essai de Phase II DESTINY-1 pour le PXL065 dans le traitement de la NASH en septembre 2021, dont les résultats sont attendus au troisième trimestre 2022
 - les études de Phase IIa de preuve de concept pour le PXL065 et le PXL770 dans l'adrénoleucodystrophie liée au chromosome X (ALD), qui devraient débuter début 2022 avec des données attendues fin 2022
- **Webinaires le jeudi 23 septembre à 18h00 CEST (en français) et 19h00 CEST (en anglais)**

¹Taux de change à la date de l'approbation.



LYON, France, le 23 septembre 2021 - [POXEL SA](#) (Euronext – POXEL - FR0012432516), société biopharmaceutique au stade clinique développant des traitements innovants pour les maladies chroniques avec physiopathologie métabolique, dont la stéatohépatite non alcoolique (NASH) et les maladies rares, annonce aujourd'hui ses résultats pour la période close le 30 juin 2021 et présente un bilan de ses activités.

« Jusqu'à présent, 2021 s'est avérée être une année charnière pour Poxel, marquée par l'approbation puis le lancement commercial de TWYMEEG® au Japon. Cette première mise sur le marché d'un produit développé par Poxel démontre notre capacité à atteindre nos objectifs corporate et cliniques et à apporter de meilleurs traitements métaboliques aux patients. Cette réalisation renforce notre situation financière à court terme et continuera à le faire grâce aux futures redevances et paiements liés aux ventes », a déclaré Thomas Kuhn, Directeur Général de Poxel. « Nous sommes également impatients d'exploiter tout le potentiel de notre réorientation stratégique, avec un axe plus important sur les maladies métaboliques rares, en plus de notre engagement dans la NASH. Poxel est bien positionnée pour tirer parti de ses plateformes existantes et développer des thérapies dans les maladies métaboliques rares », a conclu Monsieur Kuhn.

Principaux évènements corporate

- Le 23 juin, l'approbation de TWYMEEG® au Japon, premier produit de Poxel à être commercialisé, a déclenché les deux événements de financement suivants :
 1. En juin 2021, Poxel a perçu la troisième et dernière tranche du prêt IPF pour 13,5 millions d'euros, qui est incluse dans la position de trésorerie et équivalents de trésorerie du deuxième trimestre de 36,9 millions d'euros.
 2. En juillet 2021, Poxel a reçu un paiement d'étape de 1,75 milliard de yens japonais (environ 13,2 millions d'euros, 15,8 millions de dollars américains)¹ de la part de Sumitomo Dainippon Pharma.
- Lors de l'Assemblée générale annuelle ordinaire et extraordinaire du 23 juin 2021, Poxel a nommé le Dr John Kozarich au Conseil d'administration. Il a également été nommé président du comité scientifique du Conseil. Dr Kozarich a plus de 40 ans d'expérience dans l'industrie biopharmaceutique et le milieu universitaire. Les fonctions de censeur du Conseil d'administration exercées par Bpifrance Participations ont pris fin le 9 juillet 2021.
- En juin, Poxel a tenu son Assemblée générale annuelle ordinaire et extraordinaire. Les actionnaires ont approuvé l'ensemble des résolutions qui ont été recommandées par le Conseil d'administration.

Pour plus d'informations :

https://www.poxelpharma.com/en_us/investors/shareholder-information/annual-general-meeting-documents



Etat du développement clinique

Diabète de type 2 (TWYMEEG®/Imeglimine)

- Le 23 juin, la demande d'enregistrement pour le nouveau médicament TWYMEEG® sous la forme de comprimés de 500 mg a été approuvée au Japon pour le traitement du diabète de type 2. Le médicament, premier de sa classe, doté d'un double mécanisme d'action unique, a été approuvé en monothérapie et/ou en complément d'autres traitements antidiabétiques. L'approbation repose sur les résultats positifs de diverses études précliniques et cliniques, y compris le programme TIMES de Phase III (Trials of IMeglimin for Efficacy and Safety), conduit conjointement par Poxel et Sumitomo Dainippon Pharma. Ce programme comprenait trois études pivots pour évaluer l'efficacité et la sécurité de TWYMEEG® chez plus de 1 100 patients. Dans le cadre de ces trois études, TWYMEEG® a atteint ses critères d'évaluation principaux et a présenté un profil d'innocuité et de tolérance favorable.
- Lors de la 64^{ème} réunion annuelle de la *Japan Diabetes Society* en mai, trois présentations sur l'Imeglimine ont été faites lors d'une session orale dédiée aux grandes études cliniques. Ces présentations se sont concentrées sur l'analyse et l'interprétation des données cliniques issues des essais de Phase II et de Phase III (programme TIMES) avec l'Imeglimine dans le cadre desquels des patients japonais atteints de diabète de type 2 ont été recrutés et étudiés.
- En janvier, Poxel a récupéré tous les droits de l'Imeglimine auprès de Metavant. Aux États-Unis et en Europe, Poxel continue d'explorer différentes options pour faire avancer l'Imeglimine en Phase III chez les patients atteints de diabète de type 2 et d'insuffisance rénale chronique (IRC) modérée à sévère, y compris des opportunités de partenariat.

Maladies métaboliques rares (PXL065 et PXL770)

- Dans l'adrénoleucodystrophie liée au chromosome X (ALD), une maladie rare affectant le système nerveux et les glandes surrénales, les études cliniques de preuve de concept par biomarqueurs de Phase IIa pour le PXL065 et le PXL770 devraient débuter début 2022, avec des résultats attendus fin 2022. Deux études identiques recruteront des patients adultes, de sexe masculin souffrant d'adrénomyélongueuropathie (AMN), la forme la plus courante de la maladie, et évalueront la pharmacocinétique, la sécurité et l'efficacité du PXL065 et du PXL770 après 12 semaines de traitement sur la base de biomarqueurs pertinents de la maladie, dont l'effet sur les acides gras à très longue chaîne (VLCFA), le marqueur plasmatique caractéristique de la maladie.
- En avril, le Dr. Sophie Bozec, Vice-Présidente Senior, Pharmacologie & Communication Scientifique, a présenté au *Mitochondria-Targeted Drug Development Summit* l'intérêt scientifique de l'approche de Poxel et son expertise dans les mécanismes qui modulent l'homéostasie énergétique cellulaire en ciblant la dysfonction mitochondriale. Elle a également présenté de nouvelles données sur l'intérêt des plateformes de Poxel ciblant l'activation de la protéine kinase activée par l'adénosine monophosphate (AMPK) et de



molécules de thiazolidinediones stabilisées par deutérium (dTZD), pour le traitement de maladies rares, dans lesquelles la dysfonction mitochondriale est un composant majeur de la physiopathologie.

NASH (PXL065 et PXL770)

- L'innocuité et l'efficacité du PXL065, la R-pioglitazone stabilisée au deutérium, est en cours d'évaluation dans une étude de Phase II simplifiée, DESTINY-1, pour le traitement de la NASH. Le recrutement des patients s'est terminé en septembre 2021 et les premières données sont attendues environ un an plus tard. Cette étude de Phase II de 36 semaines, chez des patients atteints de NASH non cirrhotique confirmée par biopsie, évalue trois doses de PXL065 avec un contrôle placebo chez 123 patients. Les résultats de cette étude permettront d'identifier la ou les doses optimales qui seront utilisées dans le cadre d'un essai d'enregistrement de Phase III.
- Dans la NASH, le développement du PXL770, un activateur oral direct de l'AMPK, premier de sa classe, sera défini sur la base des résultats de l'essai de Phase II du PXL065 dans la NASH et des deux études preuve de concept de Phase IIa dans l'ALD.
- Le Dr Kenneth Cusi et le Dr Vlad Ratziu ont chacun fait des présentations sur les études cliniques menées sur le PXL770 lors du Congrès International sur le Foie organisé par l'EASL (*European Association for the Study of the Liver*), qui s'est tenu du 23 au 26 juin 2021. Le Dr Cusi a présenté les résultats de l'étude de Phase IIa STAMP-NAFLD d'une durée de 12 semaines, randomisée avec contrôle placebo, portant sur le PXL770 chez 120 patients présumés atteints de NASH – sélectionné comme l'un des « meilleurs abstracts » du Congrès. Le Dr Ratziu a présenté les résultats d'une étude pharmacocinétique (PK) / pharmacodynamique (PD) de 4 semaines du PXL770 chez des patients atteints de stéatose hépatique non alcoolique (NAFLD).

Événements post-clôture

- En juillet, Poxel a annoncé une nouvelle orientation stratégique afin d'enrichir son pipeline en ciblant les indications métaboliques rares et à haute valeur ajoutée, tout en maintenant son engagement dans 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.
- En juillet, ENYO Pharma SA a annoncé des résultats positifs pour Vonafexor (EYP001), un agoniste du FXR licencié par Poxel en 2015, dans une étude de Phase IIa chez des patients atteints de NASH, sur 12 semaines, et les premiers résultats intermédiaires de deux études de Phase IIa en cours, chez des patients atteints d'hépatite B.
- En août, Elizabeth Woo a été nommée Vice-Présidente, Relations Investisseurs Relations Publiques et Communication Corporate. Elizabeth possède plus de 25 ans d'expérience dans les relations investisseurs et la communication corporate dans l'industrie biopharmaceutique, dans le cadre d'introductions en bourse, de financements, de lancements et commercialisations de médicaments. Elle est basée à Boston.





- Le 16 septembre, le partenaire stratégique de Poxel, Sumitomo Dainippon Pharma, a lancé la commercialisation du médicament TWYMEEG[®], sous la forme de comprimés de 500 mg, pour le traitement du diabète de type 2 au Japon. Le Japon est le premier pays où le produit a été approuvé. Dans le cadre de l'accord de licence avec Sumitomo Dainippon Pharma, Poxel percevra des redevances croissantes à deux chiffres sur les ventes nettes (selon les estimations de Poxel) et des paiements liés à l'atteinte d'objectifs de ventes pouvant atteindre 26,5 milliards de yens (environ 200 millions d'euros, 230 millions de dollars US)².
- En septembre, les données du PXL770, intitulées « L'activation directe de l'AMPK corrige la NASH chez les rongeurs par des effets métaboliques et une action directe sur l'inflammation et la fibrogenèse », ont été publiées en ligne par Hepatology Communications.

Résultats financiers du premier semestre 2021 (normes IFRS)

Chiffre d'affaires

Poxel a réalisé un chiffre d'affaires de 13,3 millions d'euros au titre du premier semestre clos le 30 juin 2021, contre un chiffre d'affaires de 6,4 millions d'euros au cours de la même période en 2020.

Le chiffre d'affaires du premier semestre 2021 reflète principalement le paiement d'étape de 1,75 milliard de yens (13,2 millions d'euros) de Sumitomo Dainippon Pharma que Poxel a reçu en juillet 2021.

<i>(en milliers d'euros)</i>	S1 2021	S1 2020
	6 mois	6 mois
Accord Roivant	-	13
Accord Sumitomo Dainippon Pharma	13 274	6 359
Total chiffre d'affaires	13 274	6 372

Les procédures de revue limitée ont été réalisées par les commissaires aux comptes et l'émission du rapport est en cours.

²Taux de change à la date de l'accord (30 oct. 2017).



Compte de résultat

Poxel consacre l'essentiel de ses ressources à des activités de recherche et développement (R&D). Les dépenses de R&D s'élèvent à 14,7 millions d'euros pour le premier semestre 2021, contre 12,6 millions d'euros pour la même période en 2020. Les dépenses de R&D du premier semestre 2021 reflètent principalement les coûts engagés pour l'étude clinique de Phase II DESTINY évaluant le PXL065 dans la NASH. Ils reflètent également, dans une moindre mesure, le coût du programme clinique de Phase IIa du PXL770 pour le traitement de la NASH et les coûts réglementaires engagés sur la période pour TWYMEEG® dont la Société a obtenu l'autorisation de mise sur le marché en juin 2021.

Les dépenses de R&D sont nettes du crédit d'impôt recherche (CIR), qui représente un produit de 1,6 million d'euros au premier semestre 2021, contre un montant équivalent pour la même période en 2020.

Les frais généraux et administratifs s'élèvent à 5,4 millions d'euros au premier semestre 2021, contre 6,0 millions d'euros au premier semestre 2020.

La perte financière s'élève à 1,2 million d'euros au premier semestre 2021, contre un produit de 0,2 million d'euros au premier semestre 2020. Elle reflète principalement les intérêts attachés à l'endettement de la Société.

Le résultat net pour la période close le 30 juin 2021 est une perte nette de 8,0 millions d'euros, contre une perte nette de 12,1 millions d'euros pour la même période en 2020.

Compte de résultat simplifié

(en milliers d'euros)

	S1 2021 6 mois	S1 2020 6 mois
Chiffres d'affaires	13 274	6 372
Frais de recherche et de développement nets*	(14 683)	(12 580)
Frais généraux et administratifs	(5 443)	(5 983)
Résultat opérationnel	(6 851)	(12 191)
Résultat	(1 178)	249
Impôt sur le résultat	-	(118)
Résultat net	(8 029)	(12 060)

*Net du crédit d'impôt recherche. Les procédures de revue limitée ont été réalisées par les commissaires aux comptes et l'émission du rapport est en cours.



Trésorerie

Au 30 juin 2021, la trésorerie et les équivalents de trésorerie s'élevaient à 36,9 millions d'euros (43,9 millions de dollars), contre 40,2 millions d'euros (49,4 millions de dollars) au 31 décembre 2020. La trésorerie et les équivalents de trésorerie sont entièrement compensés par l'endettement financier (hors impacts IFRS16 et dettes dérivées) au 30 juin 2021. La trésorerie et équivalents de trésorerie nets de l'endettement financier (hors impacts IFRS16 et dettes dérivées) s'élèvent à 17,1 millions d'euros au 31 décembre 2020. En juillet 2021, Poxel a reçu un paiement d'étape de 13,2³ millions d'euros de son partenaire Sumitomo Dainippon Pharma pour l'approbation de l'Imeglimine, qui ne figure pas dans la position de trésorerie au 30 juin 2021

(en milliers d'euros)	T2 2021	T4 2020
Trésorerie	20 431	15 587
Équivalents de trésorerie	16 490	24 616
Total trésorerie et équivalents de trésorerie*	36 921	40 203

* La trésorerie et les équivalents de trésorerie sont entièrement compensés par l'endettement financier (hors impacts IFRS16 et dettes dérivées) au 30 juin 2021. La trésorerie et équivalents de trésorerie nets de l'endettement financier (hors impacts IFRS16 et dettes dérivées) s'élevaient à 17,1 millions d'euros au 31 décembre 2020.

Les procédures de revue limitée ont été réalisées par les commissaires aux comptes et l'émission du rapport est en cours.

L'équipe de direction de Poxel tiendra un webinar à l'intention des investisseurs et analystes le 23 septembre 2021 afin de présenter ses résultats semestriels 2021 ainsi que les derniers développements de la Société :

- En français à 18 heures CEST (12 heures ET).
Pour vous inscrire :
https://us02web.zoom.us/webinar/register/WN_o4kretFCS8uz7iHv0iLmxg
- En anglais à 19 heures CEST (13 heures ET).
Pour vous inscrire :
https://us02web.zoom.us/webinar/register/WN_Flka34pnTdGsTj_fJSvGlw

La présentation sera disponible dans la section [Relations Investisseurs](#) du site internet de Poxel.

³ Taux de change à la date de l'approbation.



Les participants pourront soumettre leurs questions via le chat disponible pendant l'événement.

Le replay du webinaire sera disponible sur le site internet de Poxel : <https://www.poxelpharma.com/fr/investisseurs/information-delentreprise/presentations>

Présentations prévues et participation aux événements à venir suivants

- 11^e réunion internationale consacrée à l'AMPK, Evian-les-Bains, France, du 26 au 30 septembre 2021
- HealthTech Innovation Days, France, du 4 au 5 octobre 2021
- Congrès mondial de neurologie, du 3 au 7 octobre 2021
- Conférence NASH H.C. Wainwright, 12 octobre 2021
- Sommet sur les maladies rares de l'Organisation nationale pour les maladies rares (NORD), du 18 au 19 octobre 2021

Prochain communiqué : trésorerie et chiffre d'affaires du troisième trimestre 2021, le 21 octobre 2021.

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'adrénomyéloneuropathie (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.

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

Elizabeth Woo

Senior Vice-Président, Relations Investisseurs, Communication Corporate et Relations publiques

elizabeth.woo@poxelpharma.com

Aurélié Bozza

Directrice communication et relations investisseur

aurelie.bozza@poxelpharma.com

+33 6 99 81 08 36

Catherine David

Communication et relations investisseurs

catherine.david@poxelpharma.com

+33 7 64 57 61 78

Relations investisseurs / Médias - France

NewCap

Emmanuel Huynh / Arthur Rouillé

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

+49 171 351 2733 / +49 175 804 1816

