



Communiqué de presse

## Poxel dresse un bilan de ses activités et publie sa trésorerie et son chiffre d'affaires pour le premier trimestre 2022

- Le statut « Fast Track » et la désignation de médicament orphelin (Orphan Drug Designation - ODD) ont été accordés au PXL065 et au PXL770 par la Food and Drug Administration (FDA) pour le traitement des patients atteints d'adrénoleucodystrophie (ALD)
- Les résultats de l'étude de phase II pour le PXL065 (DESTINY-1) dans la NASH sont attendus au troisième trimestre 2022
- Au 31 mars 2022, la trésorerie et les équivalents de trésorerie s'élevaient à 24,0 millions d'euros (26,7 millions de dollars)

**LYON, France, le 17 mai 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, publie aujourd'hui le bilan de ses activités et publie sa trésorerie et son chiffre d'affaires pour le premier trimestre clos le 31 mars 2022.

« L'obtention de la désignation de médicament orphelin de la part de la FDA pour le PXL065 et le PXL770 dans l'ALD, qui fait suite à l'obtention du statut « Fast Track » pour les deux composés, nous permet d'envisager un développement clinique accéléré dans l'ALD, indication pour laquelle il n'existe actuellement pas de traitement. Nous préparons le lancement, dès que possible, de nos deux études cliniques de phase IIa de preuve de concept. Nous prévoyons de partager les premiers résultats de notre étude de phase II DESTINY-1 dans la NASH pour le PXL065, attendus au troisième trimestre 2022 », a déclaré Thomas Kuhn, Directeur Général de Poxel. « Nous continuons d'étudier diverses options de financement, afin d'étendre notre horizon de financement, en privilégiant les options non dilutives, et de poursuivre le développement de nos candidats cliniques et la démonstration de leur bénéfice dans le domaine des maladies métaboliques ».



## Développement commercial

### TWYMEEG® (Imeglimine)

- Au 31 mars 2022, le chiffre d'affaires de Poxel issu des redevances basées sur les ventes nettes de TWYMEEG au Japon dans le cadre de l'accord de licence avec Sumitomo Pharma ont été modestes du fait du lancement commercial récent de TWYMEEG, le 16 septembre 2021. Le début de la commercialisation de TWYMEEG a été affecté par les restrictions appliquées au Japon à la prescription de tout nouveau médicament au cours de sa première année de commercialisation, et les conditions liées au COVID-19, qui ont réduit la fréquence des visites chez les médecins et limité les efforts importants de formation des prescripteurs nécessaires à tout lancement d'un médicament innovant doté d'un nouveau mécanisme d'action. Cependant, grâce aux activités et efforts promotionnels de Sumitomo Pharma depuis son lancement, TWYMEEG est très bien connu des médecins prescripteurs.

## État du développement clinique

### NASH

- Le PXL065 (R-pioglitazone stabilisée par substitution au deutérium) est évalué dans le cadre d'une étude de phase II (DESTINY-1) de détermination de dose. Les résultats de cette étude d'une durée de 36 semaines, randomisée, en double aveugle, avec contrôle placebo, en groupes parallèles, conçue pour évaluer l'efficacité et l'innocuité du PXL065, sont attendus au troisième trimestre 2022. L'objectif de DESTINY-1 est d'identifier la ou les doses optimales de PXL065 qui seront évaluées dans un essai d'enregistrement de phase III, pour le traitement de patients atteints de NASH non cirrhotique confirmée par biopsie.

## Maladies métaboliques rares

- Dans l'ALD, deux études cliniques de phase IIa de preuve de concept pour le PXL065 et le PXL770 seront lancées dès que possible, sous réserve de financements additionnels. Les deux études identiques inclueront des patients adultes de sexe masculin atteints d'adrénomyélongueuropathie (AMN), la forme la plus courante d'adrénoleucodystrophie (ALD). Les études de preuve de concept évalueront la pharmacocinétique, la sécurité et l'efficacité du PXL065 et du PXL770, après 12 semaines de traitement par des biomarqueurs clés de la maladie, tels que l'effet sur les acides gras à très longue chaîne (VLCFA), le marqueur plasmatique caractéristique de la maladie.
- En février et avril, la FDA a attribué le statut « Fast Track » (FTD) au PXL065 et au PXL770 pour l'ALD. La FDA accorde le statut « Fast Track » aux médicaments en développement qui visent à traiter des pathologies graves ou



mortelles et à répondre à des besoins médicaux non satisfaits. Répondre à un besoin médical non satisfait se définit comme le fait de fournir un traitement dans une indication où il n'y en existe pas ou de fournir un traitement potentiellement meilleur que ceux existants. Les principaux avantages du statut « Fast Track » incluent un accès simplifié à la FDA, avec des opportunités régulières et plus fréquentes de rendez-vous et de discussions.

## Événements significatifs récents

- Au cours du 2<sup>ème</sup> trimestre, la FDA a accordé la désignation de médicament orphelin (ODD) au PXL065 et au PXL770 dans l'ALD. Le statut de médicament orphelin peut faire bénéficier à 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, de crédits d'impôt pour les dépenses liées aux essais cliniques qualifiés menés après l'obtention de la désignation orpheline.

## Trésorerie et équivalents de trésorerie du premier trimestre 2022

Au 31 mars 2022, la trésorerie et les équivalents de trésorerie s'élevaient à 24,0 millions d'euros (26,7 millions de dollars), contre 32,3 millions d'euros (36,6 millions de dollars) au 31 décembre 2021. La dette financière nette (hors impacts IFRS16 et instruments dérivés) s'élève à 10,1 millions d'euros au 31 mars 2022, contre 2,6 millions d'euros au 31 décembre 2021.

EUR (en milliers)	T1 2022	T4 2021
Trésorerie	24 043	28 753
Équivalents de trésorerie	-	3 534
<b>Trésorerie et équivalents de trésorerie*</b>	<b>24 043</b>	<b>32 287</b>

Données non auditées

\* La dette financière nette (hors impacts IFRS 16 et instruments dérivés) s'élève à 10,1 millions d'euros à la fin du premier trimestre 2022 contre 2,6 millions d'euros à la fin du quatrième trimestre 2021.

Sur la base :

- (i) de la position de trésorerie au 31 mars 2022,
- (ii) du plan de développement actuel de la Société, comprenant 1) la finalisation de son étude de phase II en cours (DESTINY-1) pour le PXL065 dans la NASH mais 2) ne comprenant pas les deux études cliniques de phase IIa de preuve de concept (POC) sur biomarqueurs pour le PXL065 et le PXL770 dans l'adrénomyéloneuropathie (AMN),
- (iii) des prévisions de trésorerie pour l'année 2022, approuvées par le Conseil d'administration de la Société, qui, 1) dans une approche prudente, reposent sur l'absence de redevances basées sur les ventes nettes de l'Imeglimine



au Japon, et 2) incluent un montant de 4 813 milliers d'euros au titre des remboursements de l'emprunt souscrit auprès d'IPF Partners prévus jusque décembre 2022, et

(iv) d'un contrôle strict de ses dépenses opérationnelles,

la Société estime que ses ressources seront suffisantes pour financer ses opérations et ses besoins en matière d'investissement au moins jusqu'au 31 décembre 2022. Cependant, la Société est soumise à certains *covenants*<sup>1</sup> financiers liés à son emprunt obligataire souscrit auprès d'IPF Partners qui pourraient ne plus être respectés au 3<sup>ème</sup> trimestre 2022.

La Société étudie activement diverses options de financement qui comprennent des sources de financement dilutives et non dilutives, ainsi que des discussions avec IPF Partners..

### Chiffre d'affaires du premier trimestre 2022

Poxel a réalisé un chiffre d'affaires de 32 milliers d'euros pour le trimestre clos le 31 mars 2022, contre un chiffre d'affaires nul au cours de la période correspondante en 2021.

Le chiffre d'affaires du premier trimestre 2022 reflète 4,4 millions de yens (32 milliers d'euros) de revenus de redevances de Sumitomo Pharma, qui représentent 8% des ventes nettes de TWYMEEG au Japon. Sur la base des prévisions actuelles, Poxel s'attend à recevoir des redevances de 8% sur les ventes nettes de TWYMEEG au Japon au cours de l'exercice 2022 de Sumitomo Pharma (avril 2022 à mars 2023). Dans le cadre de l'accord de licence Merck Serono, Poxel versera à Merck Serono une redevance fixe de 8% basée sur les ventes nettes d'Imeglimine, quel que soit le niveau des ventes.

EUR (en milliers)	T1 2022 3 mois	T1 2021 3 mois
Accord Sumitomo Pharma	32	-
Autre	-	-
<b>Revenus totaux</b>	<b>32</b>	<b>-</b>

Données non auditées

<sup>1</sup> Afin de respecter ces *covenants* financiers, la Société doit maintenir une position de trésorerie minimum selon le plus élevé entre i) dix millions d'euros et, ii) la somme du service de la dette consolidée de la Société ainsi que le montant de trésorerie nécessaire à la gestion du Groupe dans le cadre de ses opérations, pour les 6 prochains mois.



## Prochaines présentations et participations de la Société à des événements

- European Renal Association, du 25 au 28 mai
- 5<sup>ème</sup> Congrès mondial de la NASH, les 26 et 27 mai
- Jefferies Global Healthcare Conference, du 8 au 10 juin
- JMP Securities 2022 Life Sciences Conference, les 15 et 16 juin

**Prochain communiqué financier** : Trésorerie et chiffre d'affaires du 2<sup>ème</sup> trimestre 2022, le 30 août 2022

## 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. 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). Le 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 redevances et des paiements basés sur les ventes. 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 », 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](mailto:aurelie.bozza@poxelpharma.com)  
+33 6 99 81 08 36

Elisabeth Woo  
Vice-président Senior, Relations Investisseurs et Communication  
[elisabeth.woo@poxelpharma.com](mailto:elisabeth.woo@poxelpharma.com)

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