



Communiqué de presse

Poxel annonce la création d'un Conseil Scientifique dédié aux maladies métaboliques rares

LYON, France, le 6 décembre 2021 – [POXEL SA](#) (Euronext – POXEL – FR0012432516), société biopharmaceutique au stade clinique développant des traitements innovants pour les maladies métaboliques chroniques, dont la stéatohépatite non alcoolique (NASH) et les maladies rares, a annoncé aujourd'hui la création d'un Conseil Scientifique dédié aux maladies métaboliques rares. Le nouveau Conseil Scientifique se concentrera dans un premier temps sur le développement du programme de Poxel dans l'adrénoleucodystrophie liée au chromosome X (ALD).

« Je suis ravi d'accueillir ce panel d'experts reconnus au sein du Conseil Scientifique de Poxel dédié aux maladies métaboliques rares. Ces indications thérapeutiques, y compris l'ALD, ne disposent pas, ou de manière très limitée, de traitements, et les besoins médicaux sont très grands. Les connaissances et expériences approfondies de ces experts nous permettront de mieux élaborer nos programmes de recherche et de développement précliniques et cliniques, et d'accomplir notre mission visant à développer des traitements pour les maladies métaboliques rares. Nous sommes impatients de poursuivre notre collaboration avec ces membres éminents à mesure que nous développons nos programmes cliniques avec l'initiation, début 2022, de deux études de Phase IIa dans l'ALD, la première pour le PXL065, une nouvelle molécule de thiazolidinedione modifiée par deutérium, et la seconde pour le PXL770, un activateur direct de l'AMPK », a déclaré David E. Moller, Directeur Scientifique de Poxel.

Poxel a récemment tenu son premier Conseil Scientifique dédié aux maladies rares, au cours duquel des discussions très productives ont pu être menées concernant le potentiel de ses molécules et le futur de ses programmes dans l'ALD, y compris le design des deux études de preuve de concept de Phase IIa que la Société prévoit d'initier en début d'année prochaine.

Les membres du Conseil Scientifique dédié aux maladies métaboliques rares sont les suivants :

Le professeur Florian Eichler, MD, est un expert des maladies métaboliques héréditaires qui affectent le système nerveux. Il a reçu une formation en neurologie pédiatrique et en neurogénétique à Harvard et à Johns Hopkins. Il est actuellement directeur du Centre pour les Maladies Neurologiques Rares et directeur du Service de Leukodystrophie à l'Hôpital Général du Massachussetts, à la faculté de médecine de Harvard, aux États-Unis. Ses recherches portent sur la génétique des troubles peroxysomaux, le métabolisme des lipides et la thérapie génique pour les maladies neurodégénératives. Le docteur Eichler est également président de l'association ALD



Connect.

Le professeur Marc Engelen, MD, PhD, est un chercheur clinicien, un spécialiste en neurologie pédiatrique, gastro-entérologie et endocrinologie, et un expert des troubles peroxysomaux et des leucodystrophies au Centre Médical et Universitaire d'Amsterdam, aux Pays-Bas. Le docteur Engelen a obtenu son diplôme de médecine et son doctorat à l'université d'Amsterdam. Avec Stephan Kemp et d'autres membres de son équipe, les travaux de recherche du docteur Engelen ont porté sur de nouvelles approches pour détecter, diagnostiquer et surveiller les maladies neuro-métaboliques, y compris l'ALD.

Le professeur S. Ali Fatemi, MD, est un médecin et scientifique de premier plan dans le domaine de la neurologie pédiatrique et des maladies neuro-métaboliques. Le docteur Fatemi a été formé à l'université de médecine de Vienne, en Autriche, et à l'institut Kennedy Krieger à l'université Johns Hopkins, aux États-Unis. Il a fondé le centre Moser pour les leucodystrophies et occupe aujourd'hui le poste de directeur médical à l'Institut Kennedy Krieger à Baltimore. Ses recherches se concentrent sur les études fondamentales et translationnelles de la physiopathologie de l'ALD.

Le professeur Stephan Kemp, PhD, est un expert en recherche translationnelle sur les maladies neuro-métaboliques génétiques. Il a été formé à l'université Johns Hopkins, à l'Institut Kennedy Krieger et à l'Université d'Amsterdam, où il est membre du corps professoral depuis de nombreuses années. Ses recherches portent sur le métabolisme des lipides et la neurotoxicité et il a publié de nombreux articles fondateurs sur la patho-biologie de l'ALD. Il dirige également des travaux de recherche axés sur le dépistage néonatal des anomalies métaboliques rares aux Pays-Bas.

Le professeur Fanny Mochel, MD, PhD, est une experte dans le domaine des erreurs innées du métabolisme. Elle a reçu une formation en génétique et neurosciences à l'université Pierre et Marie Curie à Paris, où elle est membre du corps professoral en génétique. Le docteur Mochel dirige également le centre français de référence sur les maladies neuro-métaboliques et est coprésidente de la société française des anomalies héréditaires du métabolisme et membre du conseil de la société pour l'étude des anomalies héréditaires du métabolisme. Ses travaux de recherche portent sur la caractérisation et le traitement des déficiences énergétiques cérébrales dans les maladies neuro-métaboliques, l'identification de nouveaux biomarqueurs, la métabolomique et l'imagerie métabolique *in vivo*, ainsi que sur des applications thérapeutiques ciblant le cycle de Krebs.

Le professeur Jaspreet Singh, PhD, est un chercheur en neurosciences qui poursuit ses recherches sur la physiopathologie de l'ALD, la neuro-inflammation, le développement de biomarqueurs et l'évaluation de nouvelles options thérapeutiques. Il a été formé en Inde et à l'université médicale de Caroline du Sud, aux États-Unis. Il est actuellement membre du corps professoral du département de neurologie du Henry Ford Health System à Détroit, aux États-Unis.



Le professeur Keith Van Haren, MD, est un neurologue pédiatrique et un expert de l'ALD. Il a reçu une formation médicale et une spécialisation à la faculté de médecine de l'université de Rochester, à la faculté de médecine de Harvard et à l'université de Stanford, aux États-Unis. Le docteur Van Haren est membre du corps professoral en neurologie et sciences neurologiques à Stanford. Il s'occupe en particulier de patients atteints d'ALD. Il dirige également un laboratoire dédié à l'étude des mutations monogéniques et des mécanismes moléculaires associés conduisant aux processus de neuro-inflammation chez l'Homme.

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'adrénomyélongueuropathie (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 marche et de l'équilibre, une incontinence et une perte de la sensibilité. Tous les hommes en 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 conduisent à 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 chez l'enfant, 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 C-ALD 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 la **stéatohépatite non-alcoolique (NASH)** et certaines maladies rares. La Société dispose actuellement de programmes cliniques et d'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 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

Catherine David

Communication et relations investisseurs

catherine.david@poxelpharma.com

+33 7 64 57 61 78

Aurélié Bozza

Directrice communication et relations investisseur

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

Relations investisseurs / Médias

NewCap

Emmanuel Huynh / Arthur Rouillé

poxel@newcap.eu

+33 (0)1 44 71 20 42 / +33 1 44 71 94 94