



Communiqué de presse

Poxel annonce sa participation à des conférences organisées par des associations de patients dans le domaine de l'adrénoleucodystrophie

LYON, France, le 15 juin 2023 – 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 sa participation à la *Scientific Symposium and Family Conference* organisée par la *United Leukodystrophy Foundation (ULF)* les 23 et 24 juin prochain à Itasca, Illinois, aux États-Unis.

Sophie Bozec, Vice-Président Senior, Pharmacologie & Communication Scientifique de Poxel présentera l'état d'avancement et les projets de Poxel pour le PXL770 et pour la plateforme de molécules TZD deutérées (d-TZD), utilisant le PXL065, ses deux candidats médicaments propriétaires prometteurs axés sur le traitement de l'adrénoleucodystrophie (ALD), une maladie génétique rare chez l'adulte, et dont le développement s'appuie sur un solide rationnel scientifique et un ensemble préclinique complet.

Poxel poursuit son engagement en faveur de la découverte, du développement et de la commercialisation de thérapies innovantes pour les patients souffrant de maladies chroniques graves et rares avec une physiopathologie métabolique sous-jacente, en commençant par l'ALD. Le PXL770 et le PXL065 ont démontré, lors d'études précliniques, leur efficacité dans l'adrénomyélongueuropathie (AMN) et l'ALD cérébrale (c-ALD) dans des modèles murins et humains¹. Deux études cliniques de phase IIa de preuve de concept pour le PXL770 et le PXL065 sont prêtes à être lancées, sous réserve de financements supplémentaires, auprès de patients adultes de sexe masculin atteints d'adrénomyélongueuropathie (AMN), la forme la plus courante d'ALD.

Conformément à sa mission visant à proposer des options thérapeutiques pour traiter l'ALD, Poxel a récemment apporté son soutien à l'association *Alex Leukodystrophy Charity* à l'occasion de l'organisation de leur week-end communautaire annuel, qui s'est déroulé du 28 avril au 1^{er} mai à Birmingham, en

¹ Les résultats de ces études précliniques ont été publiés dans des revues prestigieuses :

- Dans *The Journal of Inherited Metabolic Disease* (« JIMD ») : « [Therapeutic potential of deuterium-stabilized \(R\)-pioglitazone - PXL065 - for X-linked adrenoleukodystrophy](#) ».
- Dans *The Journal of Pharmacology and Experimental Therapeutics* (« JPET ») : « [Beneficial effects of the direct AMP-Kinase activator PXL770 in in vitro and in vivo models of X-Linked Adrenoleukodystrophy](#) ».



Angleterre. Cet événement réunit des personnes atteintes de leucodystrophie et leurs familles, ainsi que des médecins, des chercheurs et des scientifiques du monde entier pour échanger sur les leucodystrophies.

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 peroxyosomes (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'adrénomyélongue neuropathie (AMN) - qui en 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. Presque tous les hommes atteints d'ALD développeront une AMN et de nombreuses femmes avec cette mutation 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.

À propos de Poxel SA

Poxel est une société biopharmaceutique dynamique au stade clinique 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 deutérium) 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 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