



Communiqué de presse

Poxel annonce la publication dans la revue *Kidney International* des résultats d'une étude préclinique pour le PXL770 dans la polykystose rénale autosomique dominante (ADPKD)

- **Les résultats soutiennent le développement du PXL770 dans un programme clinique de phase II dans l'ADPKD**

LYON, France, le 1^{er} mars 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 la publication des résultats d'une étude préclinique portant sur la polykystose rénale autosomique dominante (ADPKD) pour le PXL770, un nouvel activateur direct de la protéine kinase activée par l'adénosine monophosphate (AMPK).

Pour accéder en ligne à la publication disponible dans la revue *Kidney International*, spécialisée dans les sciences de la vie, vous pouvez suivre le lien suivant : [A novel direct adenosine monophosphate kinase activator ameliorates disease progression in preclinical models of Autosomal Dominant Polycystic Kidney Disease. \(kidney-international.org\)](https://www.kidney-international.org).

« L'ADPKD reste une des principales causes d'insuffisance rénale au stade terminal et est associée à d'importants besoins médicaux additionnels non satisfaits. Le tolvaptan étant le seul traitement approuvé pour l'ADPKD et celui-ci présentant une efficacité modérée et des effets secondaires connus, de nouvelles approches thérapeutiques sont nécessaires rapidement dans cette indication », a déclaré David E. Moller, MD, Vice-Président Exécutif et Directeur Scientifique de Poxel, « L'AMPK est une cible reconnue pour le traitement de l'ADPKD, pour laquelle la physiopathologie implique des perturbations métaboliques et est étroitement liée aux voies biochimiques clés qui sont modulées par l'activation de l'AMPK. Pour la première fois, nous avons démontré les effets bénéfiques d'un activateur direct et sélectif de l'AMPK dans des modèles précliniques d'ADPKD issus de trois espèces : la souris, le chien et l'Homme. Ces résultats confirment l'utilité potentielle de l'activation de l'AMPK pour cette maladie et soutiennent le développement du PXL770 dans un programme clinique de phase II pour l'ADPKD ».



À propos de la polykystose rénale autosomique dominante (ADPKD)

La polykystose rénale autosomique dominante, ou ADPKD, est une maladie rénale chronique causée par des mutations des gènes PKD1 ou PKD2. Cette maladie provoque le développement de petits sacs remplis de liquide, appelés kystes, dans les reins. Le terme « autosomique dominante » (AD) désigne la méthode de transmission de la maladie du parent à l'enfant. Concernant l'ADPKD, ces kystes se développent dans les reins au fil du temps, entraînant une augmentation de leur taille et de leur volume, ce qui dégrade la fonction rénale et peut éventuellement entraîner une insuffisance rénale. La plupart des personnes atteintes d'ADPKD souffrent de douleurs, d'hypertension artérielle et d'insuffisance rénale à un moment donné de leur vie.

L'ADPKD est la quatrième cause d'insuffisance rénale chronique (IRC), affectant 1 personne sur 400 à 1 000 (environ 140 000 patients aux États-Unis) et est la maladie rénale héréditaire transmise la plus courante. Plus de 50% des patients atteints d'ADPKD finissent par développer une maladie rénale avant 50 ans, suivie d'une dialyse et/ou une transplantation rénale. Un seul médicament, le tolvaptan, est approuvé pour atténuer la progression de la maladie et est associé à des effets indésirables hépatiques graves et à une mauvaise tolérance (polyurie).

A propos de Poxel

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 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 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 : <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

+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