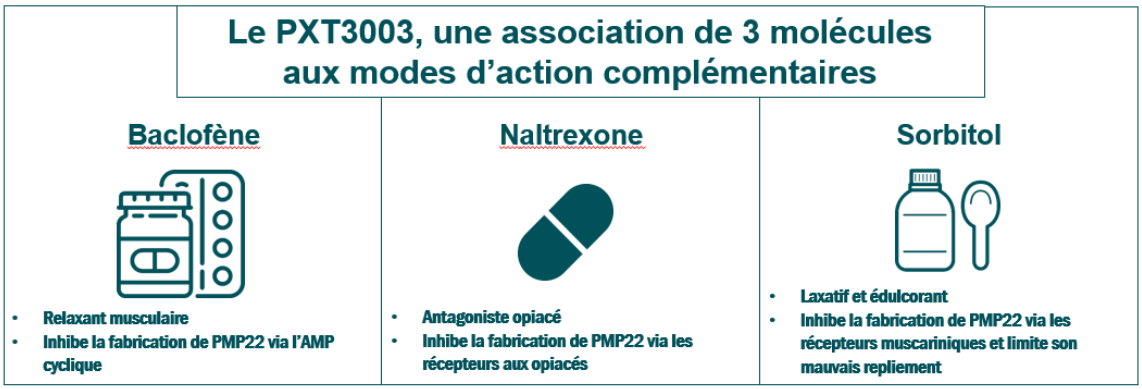
## Maladie de Charcot-Marie-Tooth

**Brève AFM**
https://www.afm-telethon.fr/actualites/cmt1a-nouveaux-resultats-cliniques-pxt3003-116033

### CMT1A : de nouveaux résultats cliniques du PXT3003
***À haute dose, le PXT3003 préserverait les capacités motrices dans la CMT 1A.***

Le PXT-3003, un candidat-médicament développé par la société Pharnext, a été évalué auprès de 323 personnes atteintes de maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1A (CMT1A) pendant 15 mois. Cet essai, appelé PLEO-CMT, a démarré en décembre 2015 en France, en Europe, au Canada et aux États-Unis.




**Des effets bénéfiques sur la santé motrice**
Malgré des problèmes liés au conditionnement du PXT3003 qui a entrainé une interruption temporaire de l'essai pour plusieurs malades, les résultats publiés de l'essai montrent :

- une préservation de la fonction des bras et des jambes avec des mouvements facilités chez les personnes traitées avec la haute dose de produit en comparaison du groupe placebo
- des résultats significativement meilleurs au test chronométré de marche sur 10 mètres, pour ces personnes ;
- une bonne tolérance au traitement.

**D'autres essais en cours**
La dose la plus élevée prescrite lors de l'essai ayant montré qu'elle pouvait ralentir voire stabiliser l'atteinte motrice, elle a continué à être étudiée. Pharnext a optimisé la fabrication et le conditionnement du PXT3003.
L'essai PLEO-CMT se poursuit par une étude d'extension à laquelle participent encore 187 malades. Elle permettra de connaitre les effets à long terme du candidat médicament.
Par ailleurs, un nouvel essai international du PXT3003, l'essai PREMIER, a démarré en France en juillet 2021.

**Source**
*A double-blind, placebo-controlled, randomized trial of PXT3003 for the treatment of Charcot-Marie-Tooth type 1A*
*Shahram Attarian, Peter Young, Thomas H Brannagan et al.*
*Orphanet J Rare Dis. 2021 (Oct)*

*« Pharnext annonce les résultats positifs de l'essai pivot de Phase 3 de PXT3003 pour le traitement de la maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1A »*
*Communiqué de presse, Pharnext, 16 octobre 2018*

---

**Brève AIM**
https://www.institut-myologie.org/2021/12/14/publication-des-resultats-de-lessai-pleo-cmt-evaluant-le-pxt3003-dans-la-cmt1a/

### Publication des résultats de l'essai PLEO-CMT évaluant le PXT3003 dans la CMT1A

- Le PXT3003 est une association à faible dose de baclofène, naltrexone et sorbitol qui agiraient en synergie pour inhiber l'expression excessive de *PMP22* dans la maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1A.
- Un essai de phase III, en double-aveugle, a évalué deux doses de PXT3003 chez 323 personnes atteintes de CMT 1A pendant 15 mois. Il a montré :
  - une diminution de score *Overall Neuropathy Limitations Scale* (ONLS) de 0,37 chez les personnes traitées avec la plus haute dose par rapport à celles sous placebo, reflétant une amélioration clinique ;
  - des performances statistiquement améliorées au test de marche sur 10 mètres dans le groupe qui a reçu la dose élevée par rapport au groupe placebo ;
  - aucun effet indésirable lié au traitement.
- Un nouvel essai de phase III du PXT3003 est actuellement en cours, avec la participation de 6 centres en France (Angers, Bordeaux, Lille, Marseille, Paris - La Pitié Salpetrière- et Strasbourg).

Voir aussi « CMT1A : de nouveaux résultats cliniques du PXT3003 »

**Source**

***A double-blind, placebo-controlled, randomized trial of PXT3003 for the treatment of Charcot-Marie-Tooth type 1A***

*Shahram Attarian, Peter Young, Thomas H Brannagan et al.*

*Orphanet J Rare Dis. 2021 (Oct)*