

## Axoltis Pharma présente les résultats prometteurs d'une étude de phase 1b de son candidat médicament pour les maladies neurodégénératives

- Une bonne tolérance et des effets pharmacologiques significatifs confirment les propriétés du candidat médicament NX210c et son potentiel pour traiter un large éventail de maladies neurodégénératives
- Des biomarqueurs mettent en évidence des effets significatifs et durables confirmant l'action de NX210c sur l'intégrité et la réparation de la barrière hémato-encéphalique (BHE) ainsi que sur la neuroprotection et la neurotransmission
- En 2024, Axoltis prévoit de démarrer un essai de phase 2 dans la Sclérose Latérale Amyotrophique (SLA – Maladie de Charcot) et de mener un essai de phase 1b dans la maladie de Parkinson tout en réalisant une modélisation *in silico* afin d'évaluer et d'optimiser le potentiel thérapeutique de NX210c plus largement dans les maladies neurodégénératives

**Clermont-Ferrand et Lyon (France), le 12 décembre 2023** - Axoltis Pharma, société biopharmaceutique française spécialisée dans le développement de solutions thérapeutiques pour les maladies neurodégénératives, annonce aujourd'hui les résultats prometteurs de son étude clinique de phase 1b évaluant son peptide NX210c, un candidat médicament breveté.

Cette étude fait suite à une phase 1a réalisée en 2020, évaluant l'administration unique en escalade de dose de NX210c, qui avait déjà montré un bon profil de tolérance sur des volontaires sains.

La phase 1b était une étude à dose multiple croissante destinée à évaluer la tolérance, la pharmacocinétique et la pharmacodynamique de NX210c sur des volontaires sains âgés de plus de 55 ans ([NCT05827653](#)). Au premier trimestre 2023, 29 volontaires sains (12 avec une dose de 5mg/kg, 11 avec 10mg/kg et six recevant un placebo) ont participé à cette étude monocentrique randomisée, en double aveugle, contrôlée contre placebo, en escalade de dose, réalisée au Centre for Human Drug Research de Leiden, aux Pays-Bas. NX210c était administré en perfusion de 10 minutes par voie intraveineuse, trois fois par semaine pendant quatre semaines.

Les résultats ont confirmé que NX210c est bien toléré à toutes les doses testées. Les effets secondaires liés au produit étaient légers. De plus, l'évaluation de la tolérance d'un point de vue neurologique a été renforcée en utilisant Neurocart® (une batterie de tests pour le système nerveux central) et en incluant une revue complète des signaux d'électro-encéphalogrammes.

« Nous avons la confirmation que le profil de tolérance de NX210c est très bon. De plus, nous sommes ravis d'observer des effets pharmacodynamiques significatifs sur des biomarqueurs du sang et du liquide céphalo-rachidien, particulièrement ceux relatifs à l'intégrité de la BHE, à la neuroprotection et à la neurotransmission. Ces résultats très prometteurs sont une base solide sur laquelle nous construisons la stratégie de développement du candidat médicament NX210c », souligne le Dr Annette Janus, neurologue, directrice médicale d'Axoltis.

Ces résultats cliniques ainsi que ceux très encourageants d'études précliniques viennent d'être présentés à Neuroscience 2023, le congrès annuel de la « Society for Neuroscience (SfN) » à Washington DC (USA). Ils ont aussi été sélectionnés pour une présentation orale lors du congrès [AD/PD™](#) à Lisbonne (Portugal) en mars 2024.

En utilisant une technique de modélisation basée sur les données cliniques, Axoltis a également pu mettre en évidence une relation entre pharmacocinétique et pharmacodynamique (PKPD) de NX210c pour plusieurs biomarqueurs, renforçant ainsi son approche thérapeutique.

« Nous sommes très satisfaits de nos résultats précliniques et cliniques, conférant à Axoltis une avance significative dans la réparation de la BHE avec un produit au stade clinique. Parmi les indications qui s'offrent à nous, nous envisageons d'initier en 2024 une étude de phase 2 évaluant l'effet de NX210c chez des patients atteints de SLA (ou maladie de Charcot). Dans cette indication, la détérioration de la BHE pourrait participer à la progression de la maladie dès son apparition », déclare Dr. Yann Godfrin, président d'Axoltis.

Parallèlement à cette étude de phase 2 dans la SLA, Axoltis Pharma a obtenu des autorités néerlandaises une autorisation d'extension pour son étude de phase 1b avec une cohorte de patients souffrant de la maladie de Parkinson. De plus, grâce à la collaboration établie avec InSilicoTrials (Milan – Italie), une société experte dans la modélisation *in silico*, les effets potentiels de NX210c seront explorés dans des modèles de maladies neurodégénératives.

### **A propos de la barrière hémato-encéphalique (BHE)**

A l'état physiologique, la barrière hémato-encéphalique (BHE) sépare le cerveau du compartiment sanguin, et donc le protège des composants potentiellement toxiques et inflammatoires circulant dans le sang. Quand la BHE n'est plus intègre, ces composants indésirables du sang peuvent passer la barrière et atteindre le cerveau. Cela contribue à la progression des maladies neurodégénératives, et dans certains cas, peut en être à l'origine. Par exemple, dans la SLA, il a récemment été établi que la BHE est endommagée à des stades très précoces de la maladie, probablement avant même les premiers signes cliniques.

### **A propos de NX210c**

Une glycoprotéine (SCO-spondin) produite par l'organe subcommissural (SCO) joue un rôle crucial dans la neurogénèse et le guidage des axones durant la phase embryonnaire. Seuls des traces de l'organe subcommissural subsistent à l'âge adulte, ne permettant plus la production de SCO-Spondin ce qui a pour conséquence une difficulté de régénération d'éléments du système nerveux chez l'homme. Dans ce

contexte, Axoltis développe NX210c, un peptide cyclique de 12 acides aminés synthétisé à partir de la séquence la plus conservée et répétée de la SCO-Spondin, en tant que candidat médicament innovant pour les maladies neurodégénératives ou traumatiques.

NX210c est protégé par sept brevets entièrement détenus par Axoltis Pharma, y compris la protection de la composition du produit lui-même.

La FDA a octroyé en 2022 une désignation de médicament orphelin pour NX210c dans la SLA.

Pour plus de détails, visitez <https://www.axoltis.com/our-product/properties/>

### **A propos d'Axoltis Pharma**

Axoltis Pharma est une société biopharmaceutique française qui développe des traitements innovants pour lutter contre les maladies neurodégénératives ou neurotraumatiques ayant des besoins médicaux non satisfaits.

Avec son siège social à Clermont-Ferrand et des bureaux à Lyon, Axoltis a établi plusieurs partenariats avec des laboratoires universitaires ou privés de renommée internationale afin de développer son produit phare, NX210c. L'équipe dispose d'une grande expérience dans le développement de médicaments, en particulier dans des applications neurologiques.

La société est soutenue en partie par des aides significatives de Bpifrance et de la Région Auvergne-Rhône-Alpes.

[www.axoltis.com](http://www.axoltis.com)

### **Contact corporate**

#### **Axoltis Pharma (siège)**

15-17 rue Pré de la Reine  
63100 CLERMONT FERRAND  
[contact@axoltis.com](mailto:contact@axoltis.com)

#### **Axoltis Pharma (bureaux)**

60 avenue Rockefeller  
69008 LYON

Yann GODFRIN, PhD – Président du Directoire – 04 72 62 17 36

[ygodfrin@axoltis.com](mailto:ygodfrin@axoltis.com)

### **Contact presse et analystes**

#### **Andrew Lloyd & Associates**

Carol Leslie / Juliette Schmitt  
[carol@ala.associates](mailto:carol@ala.associates) - [juliette@ala.com](mailto:juliette@ala.com)  
Tél : +33 1 56 54 07 00

---