

Des données précliniques montrant une efficacité de AEF0217 dans un modèle génétique murin du trouble du spectre de l'autisme ont été présentées lors de la 2^{ème} Conférence Européenne sur le Syndrome de Phelan-McDermid

La 2^{ème} Conférence Européenne sur le syndrome de Phelan-McDermid s'est tenue à Madrid du 9 au 11 juin 2023

Bordeaux, le 12 juin 2023 – 7h CEST – Aelis Farma (ISIN : FR0014007ZB4 – Mnémonique : AELIS, éligible PEA-PME), société biopharmaceutique au stade clinique spécialisée dans le développement de traitements pour les maladies du cerveau, annonce aujourd'hui la présentation de nouvelles données précliniques de son candidat-médicament AEF0217 lors de la 2^{ème} Conférence Européenne sur le syndrome de Phelan-McDermid, qui s'est tenue du 9 au 11 juin 2023, à l'Université CEU San Pablo à Madrid¹.

Le syndrome de Phelan-McDermid (PMS), dû à une délétion du chromosome 22q13 incluant le gène *SHANK3* ou à une variation de séquence dans ce gène, est parmi les mutations génétiques les plus fréquemment observées dans l'autisme. Il s'agit d'une maladie orpheline pour laquelle il n'existe à l'heure actuelle aucun traitement. Ces mutations induisent chez des personnes atteintes un retard de développement dans de multiples domaines, en particulier dans le langage, une déficience intellectuelle et souvent un trouble du spectre de l'autisme.

Le Dr. Pier Vincenzo Piazza, Directeur Général d'Aelis Farma, est intervenu lors de cette conférence, organisée par l'Association du Syndrome de Phelan-McDermid en Espagne, aux côtés de Flavio Tomasi, doctorant dans le laboratoire du Dr. Catalina Betancur à l'Université Sorbonne, INSERM, CRNS, lors d'une communication orale intitulée : « L'inhibition du récepteur cannabinoïde CB₁ corrige les déficits dans un modèle murin du syndrome de Phelan-McDermid ».

Les données présentées ont été obtenues dans le contexte d'une collaboration de plusieurs laboratoires coordonnée par le Dr. Betancur. Elles ont montré la capacité de AEF0217, dans un modèle génétique murin du syndrome de Phelan-McDermid, à corriger de façon statistiquement significative les déficits comportementaux, cognitifs et moteurs ainsi qu'une altération neurologique (hyperactivité corticale) considérée comme un des marqueurs neurobiologiques de l'autisme. Ces résultats prometteurs ouvrent la voie à analyser la faisabilité d'un développement clinique de AEF0217 dans cette indication et plus généralement dans le domaine du trouble du spectre de l'autisme.

Pier Vincenzo Piazza, Directeur Général d'Aelis Farma, déclare : « Les données précliniques obtenues par le groupe du Dr. Betancur ont suscité un vif intérêt de la communauté scientifique et elles nous incitent à évaluer, en complément du programme en cours dans la trisomie 21, la faisabilité de développer AEF0217 dans cette nouvelle indication. De façon plus générale, elles suggèrent que AEF0217 pourrait aussi aider des patients qui souffrent du trouble du spectre de l'autisme, ouvrant potentiellement de façon considérable les domaines d'application de notre deuxième candidat médicament. »

¹ Aelis Farma est l'un des partenaires de la conférence.

Le Dr. Catalina Betancur du laboratoire Neurosciences Paris Seine (INSERM, CNRS, Sorbonne Université, Paris) et responsable des études présentées, déclare : « *Nous sommes ravis d'avoir eu l'opportunité de présenter nos travaux de recherche avec AEF0217 dans un modèle murin du syndrome de Phelan-McDermid lors de cette conférence réunissant les spécialistes internationaux de cette maladie rare pour laquelle il n'existe pas de traitement efficace. Ces données précliniques ont été bien accueillies par la communauté scientifique et les familles des personnes atteintes et nous incitent à aller plus loin dans l'évaluation de AEF0217 dans le trouble du spectre de l'autisme. Nous sommes aussi ravis de participer au développement d'un traitement potentiel pour une population de patients qui en ont énormément besoin.* »

AEF0217 est le deuxième candidat-médicament développé par Aelis Farma. Il fait partie d'une nouvelle génération de médicaments découverte par la société, les inhibiteurs spécifiques de la signalisation du récepteur CB₁ du système endocannabinoïde (les CB₁-SSi), un récepteur impliqué dans de nombreuses maladies du cerveau. Il est actuellement évalué dans le cadre d'une étude de phase 1/2 dans une première indication, le traitement des déficits cognitifs chez des personnes avec une trisomie 21 (syndrome de Down).

A propos du syndrome de Phelan-McDermid²

Le syndrome de Phelan-McDermid (PMS), est une des causes génétiques les plus fréquentes des troubles du spectre de l'autisme. Il s'agit d'une affection orpheline causée par la perte de matériel génétique à l'extrémité du chromosome 22 (délétion 22q13) ou par une mutation dans le gène *SHANK3*. La caractéristique commune à toutes les personnes touchées est l'absence ou la mutation du gène *SHANK3*. L'absence d'une copie de ce gène signifie que les personnes atteintes souffrent d'un retard de développement dans de multiples domaines, en particulier dans le langage, une déficience intellectuelle, un trouble du spectre de l'autisme et des déficits moteurs. Certaines personnes atteintes peuvent présenter également une épilepsie. Cette mutation se produit généralement de manière spontanée, c'est-à-dire qu'elle n'est pas héréditaire.

A propos de la Conférence Européenne sur le Syndrome de Phelan-McDermid

Cette conférence, organisée par l'Association du Syndrome de Phelan-McDermid en Espagne, a pour but d'informer les professionnels et les familles sur les dernières avancées en matière d'investigation et de prise en charge du syndrome de Phelan-McDermid (PMS). Elle rassemble des experts internationaux dans diverses disciplines et donne l'opportunité aux familles des personnes porteuses de ce syndrome d'échanger sur les difficultés rencontrées.

A propos d'AEELIS FARMA

Fondée en 2013 à Bordeaux, Aelis Farma est une société biopharmaceutique à l'origine d'une nouvelle classe de médicaments, les inhibiteurs spécifiques de la signalisation du récepteur CB₁ du système endocannabinoïde (les CB₁-SSi). Les CB₁-SSi ont été développés par Aelis Farma sur la base de la découverte d'un nouveau mécanisme naturel de défense du cerveau par l'équipe du Dr. Pier Vincenzo Piazza, Directeur Général de la Société, lorsqu'il était directeur du Neurocentre Magendie de l'Inserm à Bordeaux. En reproduisant ce mécanisme naturel, les CB₁-SSi paraissent capable d'inhiber sélectivement l'activité liée à un état pathologique du récepteur CB₁, sans perturber son activité physiologique normale. Elles recèlent ainsi un fort potentiel dans le traitement de nombreuses maladies du cerveau.

Aelis Farma développe deux candidats-médicaments « first-in-class » au stade clinique, AEF0117 dans les troubles liés à la consommation excessive de cannabis, actuellement en phase 2b aux Etats-Unis, et AEF0217 dans les troubles cognitifs, dont ceux associés à la trisomie 21 (syndrome de Down), actuellement en phase 1/2 en Espagne. La société dispose également d'un portefeuille de CB₁-SSi innovants pour le traitement d'autres pathologies associées aux dérèglements de l'activité du récepteur CB₁.

² Sources : Associations du Syndrome de Phelan-McDermid en Espagne et en France

Aelis Farma s'appuie sur les talents de plus de 20 collaborateurs hautement qualifiés.

Pour plus d'informations, rendez-vous sur www.aelisfarma.com et suivez-nous sur [LinkedIn](#) et [Twitter](#).



ISIN : FR0014007ZB4

Mnémonique : AELIS

Compartiment B d'Euronext Paris

Contacts

AELIS FARMA

Pier Vincenzo Piazza

Directeur Général

contact@aelisfarma.com

NewCap

Dusan Oresansky / Aurélie Manavarere

Relations investisseurs

aelis@newcap.eu

+33 1 44 71 94 92

NewCap

Arthur Rouillé

Relations médias

aelis@newcap.fr

+33 1 44 71 00 15

Avertissement

Déclarations prospectives

Certaines informations contenues dans ce communiqué de presse sont des déclarations prospectives, et non des données historiques. Ces déclarations prospectives sont fondées sur des opinions, prévisions et hypothèses actuelles, en ce compris, de manière non-limitative, des hypothèses relatives à la stratégie actuelle et future d'Aelis Farma ainsi qu'à l'environnement dans lequel Aelis Farma évolue. Elles impliquent des risques connus ou inconnus, des incertitudes et d'autres facteurs, lesquels pourraient amener les résultats réels, performances ou réalisations, ou les résultats du secteur ou d'autres événements, à différer significativement de ceux décrits ou suggérés par ces déclarations prospectives. Ces risques et incertitudes incluent ceux et celles figurant et détaillés dans le Chapitre 3 « Facteurs de risque » du document d'enregistrement universel d'Aelis Farma approuvé par l'Autorité des marchés financiers le 26 avril 2023 sous le numéro R.23-018.

Ces déclarations prospectives sont données uniquement à la date du présent communiqué de presse et Aelis Farma décline expressément toute obligation ou engagement de publier des mises à jour ou corrections des déclarations prospectives incluses dans ce communiqué afin de refléter tout changement affectant les prévisions ou événements, conditions ou circonstances sur lesquels ces déclarations prospectives sont fondées. Les informations et déclarations prospectives ne constituent pas des garanties de performances futures et sont sujettes à divers risques et incertitudes, dont un grand nombre sont difficiles à prédire et échappent généralement au contrôle d'Aelis Farma. Les résultats réels pourraient significativement différer de ceux décrits, ou suggérés, ou projetés par les informations et déclarations prospectives.