

## Aelis Farma annonce le recrutement du premier patient de l'étude clinique de phase 1/2 avec son candidat-médicament AEF0217 pour le traitement des troubles cognitifs de la trisomie 21

L'étude doit inclure environ 45 participants porteurs d'une trisomie 21 (syndrome de Down) et devrait se terminer au 2<sup>ème</sup> trimestre 2023

**Bordeaux, le 16 décembre 2022 – 7h00 CET – 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 le recrutement du premier patient de son étude de phase 1/2 avec AEF0217 chez des participants porteurs d'une trisomie 21 (syndrome de Down).

AEF0217 est le deuxième candidat-médicament d'Aelis Farma. Il fait partie d'une nouvelle classe de médicaments découverts par la société, les inhibiteurs spécifiques de la signalisation du récepteur CB<sub>1</sub> du système endocannabinoïde (les CB<sub>1</sub>-SSi), un récepteur impliqué dans de nombreuses maladies du cerveau. AEF0217 est développé pour être le premier traitement des déficits cognitifs causés par une hyperactivité du récepteur CB<sub>1</sub>, et en première indication ceux associés à la trisomie 21 (syndrome de Down). AEF0217, comme les autres CB<sub>1</sub>-SSi, est capable d'inhiber seulement certaines composantes de l'activité du CB<sub>1</sub>, ce qui semble lui permettre de contrer l'hyperactivité pathologique du récepteur sans altérer ses fonctions physiologiques normales et, par conséquent, sans induire d'effets secondaires notables.

Aelis Farma a récemment publié les résultats positifs des études de sécurité et pharmacocinétique chez les volontaires sains (phase 1) avec AEF0217, qui ont confirmé le profil de sécurité particulièrement favorable des CB<sub>1</sub>-SSi, une caractéristique particulièrement importante pour les populations fragiles comme celles porteuses d'une trisomie 21. En effet, ces études ont montré que toutes les doses de AEF0217 ont été bien tolérées sans qu'aucun effet indésirable grave ne soit identifié. De plus, AEF0217 a montré un profil pharmacocinétique favorable. Ces résultats positifs permettent maintenant d'administrer AEF0217 à des personnes porteuses de trisomie 21.

Cette phase 1/2 avec AEF0217 est une étude clinique monocentrique en double aveugle comparant une dose de AEF0217 au placebo, après 28 jours de traitement une fois par jour, chez environ 45 participants porteurs de trisomie 21. Son objectif principal est d'évaluer la sécurité et l'absorption de AEF0217 chez des personnes trisomiques et l'étude pourrait potentiellement fournir les premières indications sur l'activité de AEF0217 comme traitement des déficits cognitifs de la trisomie 21.

Le recrutement du premier patient a été réalisé par les équipes du Prof. Rafael de la Torre Fornell à l'Institut de Recherches Médicales de l'Hôpital del Mar (IMIM) de Barcelone (Espagne). En fonction du rythme de recrutement, l'étude pourrait être finalisée au 2<sup>ème</sup> trimestre 2023.

**Prof. Rafael de la Torre Fornell, investigateur principal de l'étude**, déclare : « L'administration de AEF0217 chez une première personne trisomique est un moment plein d'émotion pour moi et mes équipes. Il s'agit d'un pas supplémentaire vers la mise au point d'un traitement permettant d'améliorer les capacités cognitives de ces personnes attachantes et uniques qui en ont terriblement besoin ».

**Pier Vincenzo Piazza, Directeur Général d'Aelis Farma, conclut :** « *Je souhaite féliciter les équipes du Prof. Rafael de la Torre Fornell et celles d'Aelis Farma pour cette avancée importante dans le développement de AEF0217, un candidat-médicament basé sur notre approche innovante d'inhibition sélective d'une partie de l'activité du récepteur CB<sub>1</sub>. En cas de résultats favorables, nous serons encore plus proches d'une thérapie prometteuse qui pourrait améliorer considérablement la qualité de vie des personnes trisomiques, voire ouvrir la voie au traitement d'autres déficits cognitifs* ».

\*\*\*

### **A propos du programme clinique de AEF0217 pour le traitement de trouble cognitif de la trisomie 21 : le projet européen ICOD.**

L'étude de phase 1/2 de AEF0217 fait partie du projet européen H2020 ICOD (*Improving COgnition in Down syndrome, Subvention N° 899986*), et est mené en collaboration avec l'Institut Hôpital del Mar de Recherches Médicales de (IMIM) de Barcelone (Espagne) et le Prof. Rafael de la Torre Fornell, coordinateur du projet et investigateur principal de l'étude. En février 2021, le projet ICOD a reçu un financement de 6 M€ de la Commission Européenne afin de financer le développement clinique de AEF0217 pour le traitement des déficits cognitifs liés à la trisomie 21.

### **A propos d'AEELIS FARMA**

Fondée en 2013, Aelis Farma est une société biopharmaceutique à l'origine d'une nouvelle classe de médicaments, les inhibiteurs spécifiques de la signalisation du récepteur CB<sub>1</sub> du système endocannabinoïde (les CB<sub>1</sub>-SSi). Ces nouvelles molécules recèlent un fort potentiel dans le traitement de nombreuses maladies du cerveau. Les CB<sub>1</sub>-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 CB<sub>1</sub>-SSi paraissent capable d'inhiber sélectivement l'activité liée à un état pathologique du récepteur CB<sub>1</sub>, sans perturber son activité physiologique normale. Pour ces découvertes, le Dr. Piazza s'est vu attribuer le Grand Prix de l'Inserm et le Grand Prix de neurologie de l'Académie des Sciences qui sont parmi les prix français les plus prestigieux en médecine et neurologie.

Aelis Farma développe deux candidats-médicaments « first-in-class » aujourd'hui au stade clinique, AEF0117 et AEF0217, et dispose d'un portefeuille de CB<sub>1</sub>-SSi innovants pour le traitement d'autres pathologies associées aux dérèglements de l'activité du récepteur CB<sub>1</sub>.

AEF0117, qui cible les troubles liés à la consommation excessive de cannabis (addiction et psychose), s'est révélé actif dans une étude clinique de phase 2a et est entré au 2<sup>ème</sup> trimestre 2022 dans une phase 2b qui inclura 330 patients dans 9 centres cliniques aux Etats-Unis. Aelis Farma bénéficie d'un accord d'option de licence exclusive avec Indivior PLC, groupe pharmaceutique leader dans le traitement des addictions, pour le développement et la commercialisation de AEF0117 dans les troubles liés à la consommation excessive de cannabis. Dans le cadre de cette collaboration, Aelis Farma a déjà reçu 30 M\$ (paiement de l'option). Si Indivior exerce l'option de licence à l'issue de la phase 2b, Aelis Farma recevra 100 M\$ liés à l'acquisition de la licence (potentiellement en 2024) et Indivior prendra en charge le coût supplémentaire de développement. L'accord prévoit aussi jusqu'à 340 M\$ de paiements supplémentaires conditionnés aux franchissements d'étapes de développement, réglementaires et commerciales, ainsi que des redevances sur les ventes nettes de AEF0117 comprises entre 12% et 20%.

AEF0217, qui cible différents troubles cognitifs dont ceux associés à la trisomie 21 (syndrome de Down), a terminé avec succès les études de sécurité et pharmacocinétique (programme de phase 1) chez des volontaires sains et a démarré, en décembre 2022, une étude de phase 1/2 chez de personnes porteuses de trisomie 21. Cette étude évaluera la sécurité et pharmacocinétique de AEF0217 et pourrait fournir les premières indications de l'activité de AEF0217 sur les déficits cognitifs des personnes trisomiques. Les résultats sont attendus au 2<sup>ème</sup> trimestre 2023. Ce composé a fait l'objet d'études de preuve de concept

préclinique très étendues en utilisant des tests très innovants pour l'évaluation des déficits cognitifs chez l'animal. Dans ce contexte, AEF0217 a montré sa capacité à reverser de façon complète les déficits dans plusieurs modèles animaux de troubles cognitifs tels que les syndromes de Down et du X fragile, ainsi que dans certains déficits cognitifs qui accompagnent le vieillissement.

Basée à Bordeaux, au sein du Neurocentre Magendie, Aelis Farma s'appuie sur les talents de 23 collaborateurs hautement qualifiés et a bénéficié d'investissements de la Région Nouvelle-Aquitaine, d'Inserm Transfert Initiative, de Bpifrance, des fonds régionaux ACI, NACO et Aqui-invest et de IRDI Capital Investissement.

Pour plus d'informations : [www.aelisfarma.com](http://www.aelisfarma.com)



ISIN : FR0014007ZB4

Mnémonique : AELIS

Compartiment B d'Euronext Paris

## Contacts

### **AELIS FARMA**

Pier Vincenzo Piazza  
Directeur Général  
[contact@aelisfarma.com](mailto:contact@aelisfarma.com)

### **NewCap**

Dusan Oresansky/Aurélie Manavarere  
Relations investisseurs  
[aelis@newcap.eu](mailto:aelis@newcap.eu)  
+33 1 44 71 94 92

### **NewCap**

Arthur Rouillé  
Relations médias  
[aelis@newcap.fr](mailto: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 d'Aelis Farma approuvé par l'Autorité des marchés financiers le 14 janvier 2022 sous le numéro I.22-003.

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.