

Aelis Farma annonce les résultats positifs d'études de sécurité chez des volontaires sains et l'autorisation d'initier la première étude chez des personnes trisomiques avec son candidat-médicament AEF0217 visant le traitement des troubles cognitifs

- **AEF0217 est développé pour être le premier traitement des déficits cognitifs causés par une hyperactivité du récepteur CB₁, et en première indication ceux associés au syndrome de Down (trisomie 21) qui constituent un besoin médical majeur et non satisfait à ce jour.**
- **L'étude de l'administration unique et multiple en escalade de doses de AEF0217 a permis de démontrer la sécurité, la tolérance et la bonne biodisponibilité de AEF0217 chez des volontaires sains.**
- **Sur la base de ces résultats favorables, l'AEMPS (l'Agence espagnole des médicaments et des dispositifs médicaux) a autorisé une étude de phase 1/2 chez des adultes porteurs de trisomie 21. Cette étude évaluera la sécurité, la tolérance et l'exposition plasmatique tout en apportant de potentielles indications préliminaires d'activité de AEF0217.**
- **Les premières inclusions dans l'étude de phase 1/2 sont prévues d'ici la fin de l'année.**

Bordeaux, le 15 novembre 2022 – 18h00 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 les résultats favorables du programme d'études cliniques de phase 1 chez des volontaires sains avec AEF0217, candidat-médicament spécifiquement développé pour le traitement des déficits cognitifs causés par une hyperactivité du récepteur CB₁, et en première indication ceux associés à la trisomie 21 (syndrome de Down). L'administration aiguë et chronique de AEF0217, jusqu'à 30 fois la gamme thérapeutique anticipée, est bien tolérée et présente des profils de sécurité et d'exposition plasmatique favorables pour la suite du développement clinique.

AEF0217 est le deuxième représentant de la nouvelle classe de médicaments développée par Aelis Farma : les inhibiteurs spécifiques de la signalisation du récepteur CB₁ (CB₁-SSi). Le CB₁ est le principal récepteur du système endocannabinoïde cérébral responsable de la régulation de plusieurs processus physiologiques et cognitifs. Des études récentes ont montré que les troubles cognitifs liés à la trisomie 21 impliquaient une hyperactivation du récepteur CB₁. AEF0217 se positionne comme le premier traitement des déficits cognitifs causés par une hyperactivité du récepteur CB₁. AEF0217 vise à capitaliser sur la spécificité des CB₁-SSi résidant dans leur capacité à inhiber l'hyperactivité du récepteur CB₁ sans altérer les fonctions physiologiques normales et sans induire d'effets secondaires notables, deux critères particulièrement importants pour les populations fragiles comme celles porteuses du syndrome de Down.

Pier Vincenzo Piazza, Directeur Général d'Aelis Farma, déclare : « *Les résultats très favorables du programme de phase 1 obtenus avec AEF0217 constituent une étape importante dans le*

développement de ce candidat-médicament destiné au traitement de déficits cognitifs et notamment ceux liés à la trisomie 21, aussi appelée syndrome de Down. C'est également un signal fort pour la classe thérapeutique développée par Aelis Farma, les CB₁-SSi, qui confirme disposer d'un excellent profil de sécurité ainsi que des caractéristiques pharmacocinétiques avantageuses. AEF0217 peut désormais être évalué en phase 1/2 chez les sujets porteurs de trisomie 21. Cette avancée importante dans le développement de AEF0217 nous permet de nous rapprocher rapidement de la confirmation de son potentiel thérapeutique pour améliorer la prise en charge des déficits cognitifs des personnes porteuses de trisomie 21 pour lesquelles il n'existe aucune solution thérapeutique efficace à ce jour. »

Le programme d'études cliniques de phase 1 a combiné trois études cliniques autorisées par l'autorité de santé espagnole (AEMPS) en septembre 2021 : une étude à dose unique croissante, une étude à doses multiples (7 jours) croissantes, et une étude pharmacocinétique analysant l'impact de la prise alimentaire sur l'absorption du médicament. Ce programme clinique global visait à évaluer la sécurité, la tolérance et l'absorption de AEF0217, en comparaison au placebo, dans une gamme comprise entre 0,2 mg et 6 mg chez un total de 68 volontaires sains, âgés de 18 à 55 ans.

Les résultats obtenus ont montré que toutes les doses de AEF0217 ont été bien tolérées par les volontaires sains et aucun effet indésirable grave ou sérieux n'a été détecté. Seulement 3 effets indésirables liés à AEF0217 ont été observés au cours du programme complet, se manifestant par des diarrhées de faible intensité. Aucune modification cliniquement pertinente des tests biologiques de routine, des électrocardiogrammes ou des signes vitaux n'a été observée. Des tests psychométriques évaluant les principales dimensions psychologiques, telles que la dépression, l'anxiété, la psychose et les tendances suicidaires ont également été effectués et aucune différence significative n'a été observée entre AEF0217 et placebo. Le profil pharmacocinétique de AEF0217 s'est également révélé favorable et se caractérise par une très bonne absorption, une linéarité entre les doses et une longue demi-vie telle qu'attendue.

« Ces résultats positifs de AEF0217 sont d'autant plus encourageants que la sécurité du composé est un critère particulièrement important pour le traitement de la population trisomique et pour l'acceptation par les familles d'un traitement pour les déficits cognitifs de ces personnes fragiles. Nous sommes ravis de faire partie de ce projet révolutionnaire et enthousiastes de poursuivre l'évaluation de ce candidat-médicament qui représente un réel espoir pour de nombreuses personnes porteuses du syndrome de Down et leurs proches, » conclut le **Prof. Rafael de la Torre Fornell**, investigateur principal des études cliniques et coordinateur du projet ICOD.

C'est grâce à ces données positives que l'AEMPS a autorisé à procéder au premier essai clinique chez des participants porteurs de trisomie 21. Cette étude de phase 1/2 aura pour objectif principal de démontrer la sécurité, la tolérance et le profil pharmacocinétique de AEF0217 chez les personnes trisomiques et pourrait aussi fournir les premières preuves d'activités de ce candidat-médicament. Les premières inclusions sont attendues avant la fin de l'année 2022 et les premiers résultats cliniques devraient être disponibles mi-2023.

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

Le programme de phase 1 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 au syndrome de Down.

A propos d'AE LIS 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 CB₁ du système endocannabinoïde (les CB₁-SSi). Ces nouvelles molécules recèlent un fort potentiel dans le traitement de nombreuses maladies du cerveau. Les CB₁-SSi ont été développés par Aelis Farma sur la base de la découverte d'un nouveau mécanisme naturel de défense du cerveau effectuée 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. 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 CB₁-SSi innovants pour le traitement d'autres pathologies associées aux dérèglements de l'activité du récepteur CB₁.

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^{ème} trimestre 2022 en phase 2b 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 30M\$ (paiement de l'option). Si Indivior exerce l'option de licence à l'issue de la phase 2b, Aelis Farma recevra 100M\$ liés à l'acquisition de la licence (potentiellement en 2024) et Indivior prendra en charge le cout supplémentaire de développement. L'accord prévoit aussi jusqu'à 340M\$ 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 au syndrome de Down, a terminé avec succès les études de sécurité et pharmacocinétique (programme de phase 1) chez des volontaires sains et entrera dans une étude de phase 1/2 avant la fin 2022. Cette étude évaluera la sécurité et pharmacocinétique de AEF0217 chez des personnes trisomiques et pourrait fournir les premières indications d'activité. Les résultats sont attendus au 2^{ème} trimestre 2023. Ce composé a fait l'objet d'études de preuve de concept préclinique très étendues en utilisant des tests évaluant les fonctions cognitives très innovants. 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 Aquí-invest et de IRDI Capital Investissement.

Pour plus d'informations : www.aelisfarma.com



ISIN : FR0014007ZB4

Mnémonique : AELIS

Compartiment B d'Euronext Paris

Contacts

AE LIS FARMA

Pier Vincenzo Piazza
Co-fondateur et Directeur Général
contact@aelisfarma.com

NewCap

Dusan Oresansky/Hugo Willefert
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 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.