



## **COMMUNIQUÉ DE PRESSE**

### **Aelis Farma annonce les bons résultats de la première administration à l'homme de AEF0217, son candidat-médicament pour le traitement des troubles cognitifs du syndrome de Down**

- **AEF0217 est le 2<sup>ème</sup> candidat-médicament le plus avancé de la nouvelle classe pharmacologique développée par Aelis Farma : les inhibiteurs spécifiques de signalisation du récepteur CB1 également nommés CB1-SSi.**
- **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 qui constituent un besoin médical majeur et non satisfait à ce jour.**
- **Cette étude d'administration unique en escalade de doses vise à évaluer la sécurité, la tolérance et la biodisponibilité de AEF0217, et s'inscrit dans un large programme de phase 1 prévoyant d'inclure 68 volontaires sains dont les résultats complets sont attendus au troisième trimestre 2022.**

**Bordeaux, le 02 décembre 2021** – **AELIS FARMA**, société de biotechnologie spécialisée dans le traitement des maladies du cerveau, annonce aujourd'hui que AEF0217 a été administré à la première cohorte de volontaires sains, dans le cadre d'une étude clinique de phase 1 évaluant la sécurité, la tolérance et les caractéristiques pharmacocinétiques de son second candidat-médicament. L'administration de AEF0217, à une dose comprise dans 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). Ces molécules sont basées sur un nouveau mécanisme naturel de régulation du cerveau découvert par le groupe de recherche du Dr. Pier Vincenzo Piazza, co-fondateur et Président d'Aelis Farma et ancien directeur du Neurocentre Magendie de l'INSERM à Bordeaux. Les CB1-SSi ont un mécanisme d'action unique qui lui permet d'inhiber spécifiquement l'activité cellulaire du CB1 qui paraît être impliquée dans l'hyperactivité pathologique du récepteur CB1, en laissant l'activité physiologique de base du récepteur se poursuivre normalement. Le CB1 est le principal récepteur du système endocannabinoïde responsable de la régulation de plusieurs processus physiologiques et cognitifs.

AEF0217 se positionne comme le premier traitement des déficits cognitifs causés par une hyperactivité du récepteur CB1, elle-même provoquée par une dérégulation du système endocannabinoïde

endogène. Des études récentes<sup>1</sup> ont montré que les troubles cognitifs liés au syndrome de Down (Trisomie 21) impliquaient une hyperactivation du récepteur CB1.

Le syndrome de Down est une condition génétique dont la prévalence s'accroît depuis des années en raison de l'augmentation du nombre de grossesses tardives et de l'allongement de l'espérance de vie des personnes porteuses de cette mutation génétique. Aujourd'hui on estime qu'environ 0,8 million de personnes vivent avec le syndrome de Down dans les principales économies occidentales et au Japon. Il n'existe à ce jour aucun traitement médical approuvé pour les troubles cognitifs associés qui constituent un important besoin médical non satisfait dans cette population et une charge significative pour les personnes porteuses, pour leurs familles et pour le système de santé.

La spécificité des CB1-SSi réside 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 dans le traitement de patients fragiles comme ceux atteints du syndrome de Down.

*« Nous sommes très heureux d'annoncer aujourd'hui les bons résultats de la première cohorte de volontaires ayant reçu l'AEF0217 dans le cadre de notre programme de développement de ce composé comme traitement de déficits cognitifs et notamment ceux liés au syndrome de Down. La réussite de l'entrée en phase clinique de notre deuxième candidat-médicament constitue une étape stratégique dans le développement d'Aelis Farma », commente Dr. Pier Vincenzo Piazza, co-fondateur et Président d'Aelis Farma. « AEF0217 recèle un potentiel thérapeutique fort pour améliorer la prise en charge des déficits cognitifs des personnes porteuses du syndrome de Down pour lesquelles il n'existe aucune solution médicale efficace à ce jour. Nous sommes également ravis de collaborer avec des experts et institutions de référence comme le Professeur Rafael de la Torre Fornell au sein de l'IMIM de Barcelone, dont la contribution sera clé dans le développement de cette nouvelle thérapie, et nous sommes impatients de poursuivre le développement clinique de ce produit très prometteur. »*

Cette étude d'administration unique en escalade de dose est la première des trois parties constituant l'essai de phase 1 autorisé par l'agence de santé espagnole (AEMPS) en septembre 2021. Cet essai clinique global évaluera la sécurité et la tolérance de l'administration unique puis répétée de AEF0217 dans une gamme comprise entre 0,2 mg et 6 mg, et aussi les effets de la nourriture sur l'absorption du médicament chez un total de 68 volontaires sains, âgés de 18 à 55 ans.

Ce programme de phase 1 fait partie du projet européen H2020 ICOD (*Improving COgnition in Down syndrome*), 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.

*« Les résultats positifs de la première cohorte de sujets sains avec AEF0217 constituent un premier pas d'une grande importance sur le chemin vers une thérapie prometteuse des déficits cognitifs provoqués par le syndrome de Down. Nous sommes ravis de faire partie de ce projet qui représente un réel espoir pour de nombreuses personnes atteintes du syndrome de Down et leurs familles, » conclut le Prof. Rafael de la Torre Fornell, investigateur principal des études cliniques et coordinateur du projet ICOD.*

---

<sup>1</sup> Navarro-Romero et al. Cannabinoid type-1 receptor blockade restores neurological phenotypes in two models for Down syndrome. *Neurobiol Dis.* 2019; 125:92-106.

## A propos d' AELIS FARMA

Fondée en 2013 Aelis Farma est une société de biotechnologie à l'origine d'une nouvelle classe de médicaments, les inhibiteurs spécifiques de la signalisation du récepteur CB1 (CB1-SSi), dont deux molécules sont aujourd'hui au stade clinique. Issue de la recherche de l'équipe du Dr. Pier Vincenzo Piazza, Président de la société, lors de ses travaux scientifiques réalisés quand il était directeur du Neurocentre Magendie de l'INSERM à Bordeaux, cette découverte s'est vue attribuer le grand prix de l'INSERM et de l'Académie des Sciences.

Les CB1-SSi, qui ciblent le récepteur principal du système endocannabinoïde, le CB1, recèlent un fort potentiel dans le traitement de nombreuses maladies du cerveau. Aelis Farma a déjà mis au point deux candidats médicaments « first-in-class », 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 de cannabis (addiction et psychose), a terminé une phase 2a qui a révélé des signaux positifs d'efficacité thérapeutique et entrera en phase 2b aux Etats-Unis en 2022. En juin 2021, Aelis Farma a annoncé un accord d'option de licence exclusive pour le développement et la commercialisation au niveau mondial de AEF0117 dans les troubles liés à la consommation de cannabis avec Indivior PLC, leader pharmaceutique dans le traitement des addictions. Dans ce cadre, Aelis Farma a reçu 30 M\$ (paiement de l'option) et est susceptible de recevoir si l'option est exercée après la phase 2b jusqu'à 440 M\$ de paiements de franchissement d'étapes, ainsi que des redevances à deux chiffres sur les ventes de AEF0117.

AEF0217, qui cible les troubles cognitifs tels que ceux dus au syndrome de Down, est entré en octobre 2021 en phase 1 de développement clinique. Ce composé a fait l'objet d'étude de preuve de concept préclinique très étendue en utilisant des tests évaluant les fonctions cognitives très innovants et à fort pouvoir prédictif. Dans ce contexte AEF0217 a montré sa capacité à reverser de façon complète les déficits dans plusieurs modèles de troubles cognitifs tels que les syndromes de Down et du X fragile, ainsi que dans certains déficits cognitifs qui accompagnent le vieillissement.

La Société dispose également de plusieurs nouveaux CB1-SSi au stade préclinique précoce. Aelis Farma a acquis au cours du temps une connaissance et un savoir-faire uniques de la pharmacologie des CB1-SSi et a élargi son portefeuille de composés et de brevets visant à traiter plusieurs maladies du cerveau.

Basée à Bordeaux, au sein du Neurocentre Magendie de l'INSERM, Aelis Farma emploie 23 collaborateurs et bénéficie du soutien financier de la Région Nouvelle-Aquitaine, d'Inserm Transfert Initiative, de Bpifrance, des fonds régionaux ACI et NACO et de IRDI Capital Investissement. A ce jour, ses différents programmes de recherche ont bénéficié de subventions du Fonds Européen de Développement Régional (FEDER), du programme Deeptech de Bpifrance, du programme H2020 de l'Union Européenne et du programme « Strategic Alliance » du NIH-NIDA (National Institute on Drug Abuse) américain.

## Contacts

### **AELIS FARMA**

Pier Vincenzo Piazza  
Co-fondateur et Président  
[contact@aelisfarma.com](mailto:contact@aelisfarma.com)

### **NewCap**

Nicolas Merigeau  
Relations médias  
[nmerigeau@newcap.fr](mailto:nmerigeau@newcap.fr)  
+33 1 44 71 94 98