

Communiqué de presse

Aelis Farma reçoit une deuxième recommandation favorable du Comité indépendant de surveillance des données (IDMC) pour son étude de Phase 2b avec AEF0217 chez des personnes avec une trisomie 21

- **Après analyse des données de sécurité de l'étude clinique de Phase 2b avec AEF0217 chez des personnes avec une trisomie 21, le Comité indépendant de surveillance des données (IDMC) n'a identifié aucun problème de sécurité et a recommandé la poursuite de l'étude sans modification du protocole.**

- **Les données de sécurité de 74 participants, dont 54 ayant reçu au moins 12 semaines de traitement, ont été examinées par l'IDMC dans le cadre d'une analyse intermédiaire en aveugle. Ces données confortent le profil favorable de sécurité et de tolérabilité d'AEF0217, une caractéristique particulièrement importante pour un traitement destiné à des populations présentant des pathologies associées comme les personnes avec une trisomie 21.**

- **L'IDMC a également émis une recommandation favorable permettant d'envisager l'initiation potentielle d'une étude d'extension en ouvert d'une durée de 12 mois.**

- **L'étude de Phase 2b progresse conformément au calendrier prévu, avec des résultats attendus d'ici fin 2027.**

Bordeaux, le 16 novembre 2026 – 07h30 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 et périphériques impliquant le récepteur CB_1 du système endocannabinoïde, annonce aujourd'hui une deuxième recommandation favorable du Comité indépendant de surveillance des données (« IDMC »), après examen des données de sécurité de l'étude de Phase 2b en cours avec AEF0217 chez des adultes et des adolescents âgés (16 et 17 ans) avec une trisomie 21.

À l'issue de cette évaluation, l'IDMC a recommandé la poursuite de l'étude conformément au protocole en vigueur, sans modification. Le Comité a également formulé une recommandation favorable concernant l'initiation éventuelle d'une étude d'extension en ouvert de 12 mois, qui pourrait suivre la fin de l'étude de Phase 2b actuelle.

Une deuxième évaluation favorable de la sécurité confirmant le bon profil de tolérabilité d'AEF0217

L'IDMC est un comité indépendant composé d'experts en pharmacologie clinique, en recherche clinique, en pédiatrie et dans le domaine de la trisomie 21. Son rôle consiste à examiner périodiquement les données de sécurité et de tolérabilité recueillies au cours de l'étude de Phase 2b avec AEF0217 dans la trisomie 21 et à formuler des recommandations indépendantes sur sa poursuite.

La première évaluation de la sécurité de l'étude de Phase 2b par l'IDMC, fondée sur les données de 42 participants, dont 32 avaient terminé quatre semaines de traitement, avait déjà donné lieu à une

recommandation favorable, annoncée en juillet 2026.

Cette deuxième évaluation reposait sur un examen approfondi des données de sécurité disponibles pour 74 participants randomisés, dont 54 avaient terminé au moins 12 semaines de traitement. La population comprenait de jeunes adultes (de 18 à 32 ans) et des adolescents âgés (de 16 à 17 ans, représentant 19 % des participants randomisés).

L'évaluation portait notamment sur les événements indésirables, la durée d'exposition au traitement, les paramètres biologiques, les signes vitaux, les examens électrocardiographiques et les autres paramètres de sécurité recueillis pendant l'étude.

Dans leur ensemble, les résultats ont confirmé un profil favorable de sécurité et de tolérabilité, sans événement indésirable grave ou sévère, avec une faible incidence d'événements indésirables liés au traitement et aucun problème de sécurité nécessitant une modification de l'étude.

Des événements indésirables peu fréquents, majoritairement légers et sans lien avec le traitement

Parmi les 74 participants randomisés inclus dans l'analyse de sécurité à la date de clôture des données (14 septembre 2026), 23 participants (31,1 %) ont présenté au total 42 événements indésirables apparus sous traitement (TEAE).

Presque tous les événements rapportés (41 sur 42, soit 97,6 %) étaient d'intensité légère. Un seul événement d'intensité modérée, un épisode vasovagal transitoire, a été rapporté pendant la vague de chaleur estivale et considéré par l'investigateur comme non lié au traitement expérimental.

Il est important de souligner qu'aucun événement indésirable grave (SAE), aucun événement indésirable sévère et aucun arrêt de traitement ou retrait de l'étude en raison d'un événement indésirable n'ont été rapportés.

La très grande majorité des événements indésirables ont été considérés par les investigateurs comme non liés au traitement expérimental. Seuls deux événements légers, des vomissements et de l'acné, ont été évalués comme potentiellement liés au traitement.

Les événements indésirables observés étaient répartis entre différentes classes de systèmes d'organes, sans profil inattendu ni prédominance dans une classe particulière. La plupart étaient transitoires, de courte durée (généralement seulement quelques jours), et se sont résolus sans séquelles ni nécessité de modifier le traitement à l'étude.

Ces observations sont particulièrement encourageantes compte tenu des caractéristiques de la population étudiée, soit des personnes avec une trisomie 21 susceptibles de présenter des pathologies préexistantes et de recevoir des traitements concomitants.

Aucun nouveau signal de sécurité cliniquement significatif identifié lors des analyses biologiques, des évaluations cardiovasculaires et des autres examens de santé

Outre les événements indésirables, l'évaluation comprenait un examen approfondi des résultats biologiques, des signes vitaux et des examens électrocardiographiques.

Les analyses biologiques, notamment hématologiques, biochimiques, de coagulation et urinaires, n'ont mis en évidence aucun profil consistant suggérant un signal de sécurité lié au traitement. La plupart des anomalies biologiques étaient isolées ou jugées non cliniquement significatives par les investigateurs.

Les signes vitaux, notamment la pression artérielle, la fréquence cardiaque et la température corporelle, sont restés globalement stables pendant la période évaluée.

La surveillance électrocardiographique n'a pas non plus mis en évidence de signal de sécurité cardiaque cohérent lié au traitement. Aucune détérioration cliniquement significative des résultats ECG n'a été identifiée au cours des 12 semaines d'évaluation.

Dans leur ensemble, ces évaluations n'ont identifié aucun nouveau problème ou signal de sécurité nécessitant une surveillance supplémentaire ou des modifications de l'étude en cours.

Une bonne tolérabilité également observée chez les adolescents âgés avec une trisomie 21

L'une des particularités importantes de cette étude de Phase 2b est l'inclusion d'adolescents âgés, en plus de jeunes adultes jusqu'à 32 ans.

Parmi les 74 participants randomisés, 14 étaient des adolescents de 16 et 17 ans. L'incidence des événements indésirables apparus sous traitement était comparable entre les adolescents et les adultes : 4 adolescents (28,6 %) et 19 adultes (31,7 %) ont présenté au moins un TEAE.

Aucun événement indésirable grave ou sévère n'a été rapporté dans l'un ou l'autre des groupes d'âge et aucune différence apparente de tolérabilité globale n'a été identifiée entre les adolescents et les adultes.

Ces observations apportent de premières données de sécurité encourageantes chez les adolescents de 16 et 17 ans avec une trisomie 21, une population qui n'était pas incluse dans la précédente étude de Phase 1/2.

Un profil de sécurité de plus en plus cohérent au fil du développement clinique

Cette deuxième recommandation favorable de l'IDMC fait suite à la première évaluation positive émise en juillet 2026, fondée sur les données de sécurité de 42 participants randomisés, dont 32 avaient terminé au moins quatre semaines de traitement.

Les nouveaux résultats étendent ces observations initiales à une population plus importante et à une durée d'exposition plus longue, confirmant l'absence d'événements indésirables graves ou sévères et la faible incidence d'événements indésirables considérés comme liés au traitement.

Ils sont également cohérents avec le profil favorable de sécurité et de tolérabilité observé lors des précédentes études cliniques d'AEF0217, notamment le programme de Phase 1 chez des volontaires sains et l'étude randomisée de Phase 1/2 chez de jeunes adultes avec une trisomie 21.

Il convient de souligner que, depuis la date de clôture des données utilisées pour la deuxième évaluation de l'IDMC (14 septembre 2026), aucun événement indésirable grave ni nouveau signal de sécurité n'a été rapporté.

Prises ensemble, ces évaluations successives de sécurité confortent progressivement le profil favorable de tolérabilité clinique d'AEF0217 et sont cohérentes avec les propriétés attendues de l'approche pharmacologique innovante CB_1-SSi d'Aelis Farma.

Recommandation favorable pour une étude d'extension en ouvert de 12 mois

L'IDMC a également examiné si les données de sécurité disponibles étaient suffisantes pour soutenir l'initiation d'une étude d'extension en ouvert de 12 mois, qui pourrait suivre l'étude de Phase 2b.

Le Comité a émis une recommandation favorable à l'initiation d'une étude d'extension, avec le maintien d'une surveillance indépendante de la sécurité.

Cette dernière constitue une nouvelle étape importante permettant de sécuriser davantage le programme de développement clinique d'AEF0217, en soutenant l'initiation éventuelle d'une étude d'extension en ouvert d'un an qui permettrait d'accélérer la collecte de données de sécurité et de tolérabilité à long terme nécessaires aux dossiers de demande d'autorisation de mise sur le marché.

Poursuite du développement clinique de Phase 2b, avec des résultats attendus d'ici fin 2027

L'étude de Phase 2b continue de progresser : au 4 novembre 2026, 108 participants avaient été randomisés, soit plus de la moitié des 188 participants prévus. Parmi eux, 38 avaient déjà terminé la période de traitement de 24 semaines.

Les résultats cliniques sont attendus d'ici fin 2027, conformément au calendrier précédemment annoncé.

Ces résultats constitueront une étape majeure du développement clinique d'AEF0217, avec pour objectif de confirmer les résultats d'efficacité encourageants précédemment observés dans l'étude de Phase 1/2 et de soutenir les prochaines étapes de son développement clinique et réglementaire.

Pier Vincenzo Piazza, cofondateur et Directeur Général d'Aelis Farma, déclare :
« Nous sommes extrêmement heureux de cette deuxième recommandation favorable du Comité indépendant de surveillance, qui confirme le profil encourageant de sécurité et de tolérabilité d'AEF0217 et permet la poursuite de notre étude de Phase 2b sans modification.
Les données de sécurité sont particulièrement rassurantes, puisqu'elles portent désormais sur un plus grand nombre de participants et une durée de traitement plus longue, incluant des adolescents âgés. Ces observations sont cohérentes avec le profil de sécurité attendu de notre approche pharmacologique innovante CB_1-SSi, conçue pour inhiber sélectivement la signalisation pathologique du récepteur CB_1 tout en préservant ses fonctions physiologiques normales.
Nous sommes également très encouragés par la recommandation favorable du Comité concernant l'initiation éventuelle d'une étude d'extension en ouvert, qui représente une nouvelle étape importante du développement clinique d'AEF0217.
Après l'annonce récente des résultats positifs de notre étude rétrospective, suggérant que les bénéfices précédemment observés avec AEF0217 se traduisent par des améliorations significatives dans la vie quotidienne, cette nouvelle évaluation positive de la sécurité renforce encore notre confiance dans le potentiel thérapeutique d'AEF0217.
Nous restons pleinement mobilisés pour mener à bien notre étude de Phase 2b, dont les résultats sont attendus d'ici fin 2027, et remercions très chaleureusement les participants, leurs familles, les personnes qui les accompagnent ainsi que les équipes cliniques qui contribuent à cette recherche importante. »

Le Pr Rafael de la Torre Fornell, investigateur coordinateur de l'étude de Phase 2b, commente :
« Cette deuxième évaluation positive par le Comité indépendant de surveillance est très encourageante d'un point de vue clinique.
L'absence d'événements indésirables graves ou sévères et la bonne tolérabilité globale observée à ce jour, notamment chez les adolescents âgés avec une trisomie 21, sont particulièrement importantes pour le développement d'un traitement destiné à une utilisation potentiellement prolongée dans cette population.
La recommandation du Comité de poursuivre l'étude sans modification, associée à son avis favorable concernant l'étude d'extension prévue, apporte des éléments rassurants supplémentaires alors que nous poursuivons l'évaluation clinique d'AEF0217.
Il existe un besoin médical important non satisfait de traitements capables d'améliorer les capacités cognitives et le fonctionnement adaptatif des personnes avec une trisomie 21. Nous attendons avec intérêt l'achèvement de cette étude importante afin de déterminer si les résultats encourageants précédemment observés avec AEF0217 peuvent être confirmés dans cette population plus large. »

***

À propos d'AEF0217

AEF0217 est un candidat-médicament développé par Aelis Farma pour le traitement d'un large éventail de troubles cognitifs. Dans ce domaine, il est le premier d'une nouvelle classe pharmacologique découverte par la Société, les inhibiteurs spécifiques de la signalisation du récepteur CB_1 (CB1-SSi).

AEF0217 inhibe sélectivement l'hyperactivité des voies de signalisation intracellulaire du récepteur CB_1 associées à des états pathologiques, tout en préservant le fonctionnement physiologique normal du récepteur. Ces effets moléculaires sélectifs sont associés à un bon profil non seulement d'efficacité mais aussi de tolérabilité.

Dans les études précliniques, AEF0217 a corrigé un large éventail de troubles cognitifs associés aux troubles du neurodéveloppement, à l'autisme et au vieillissement.

Une première preuve de concept clinique de l'efficacité d'AEF0217 a été obtenue chez des personnes avec une trisomie 21 dans une étude clinique de Phase 1/2 multicentrique, randomisée et contrôlée par placebo. Comme anticipé, AEF0217 a également démontré un profil de sécurité et de tolérabilité très favorable chez les volontaires sains comme chez les personnes avec une trisomie 21

Étude clinique de Phase 2b en cours avec AEF0217

Sur la base des résultats positifs de sécurité et d'efficacité obtenus jusqu'à présent avec AEF0217, Aelis Farma mène actuellement une étude clinique internationale de Phase 2b, multicentrique, randomisée, en double aveugle et contrôlée par placebo, chez des personnes avec une trisomie 21.

Cette étude vise à approfondir l'évaluation de la sécurité et de l'efficacité d'AEF0217 et à confirmer sa capacité à améliorer les comportements adaptatifs et les fonctions cognitives.

L'étude prévoit d'inclure 188 participants âgés de 16 à 32 ans dans des centres cliniques situés en France, en Espagne et en Italie. Les participants reçoivent un placebo ou l'une des trois doses d'AEF0217 (0,1, 0,2 ou 0,6 mg) une fois par jour pendant six mois.

En juillet et novembre 2026, à l'issue respectivement des première et deuxième évaluations programmées de la sécurité, le Comité indépendant de surveillance des données n'a identifié aucun signal de sécurité et a recommandé la poursuite de l'étude sans modification du protocole.

Cette étude de Phase 2b s'inscrit dans le projet européen ICOD (Improving Cognition in Down syndrome), soutenu par le programme de recherche et d'innovation Horizon 2020 de l'Union européenne (convention de subvention n° 899986).

***

A propos d'AELIS 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 CB_1 du système endocannabinoïde (les CB_1-SSi). Les CB_1-SSi ont été développés par Aelis Farma sur la base de la découverte d'un nouveau mécanisme naturel de régulation d'une hyperactivité du récepteur CB_1 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_1-SSi paraissent capable d'inhiber sélectivement l'activité liée à un état pathologique du récepteur CB_1, sans perturber son activité physiologique normale. Les CB1-SSi présentent ainsi le potentiel d'être à la fois sûrs et efficaces dans le traitement de nombreuses maladies du cerveau et des organes périphériques.

Aelis Farma dispose actuellement de deux candidats médicaments first-in-class au stade clinique. Les résultats cliniques obtenus avec ces deux composés ont confirmé la sécurité et l'activité thérapeutique des CB_1-SSi chez l'homme. Le premier candidat, AEF0117, pour le traitement des troubles de l'usage du cannabis (CUD), a montré sa capacité à diminuer la consommation de cannabis dans deux études. Le deuxième candidat, AEF0217, destiné au traitement des troubles cognitifs, a montré en Phase 1/2 un bon profil de sécurité et une amélioration des comportements adaptatifs chez de jeunes adultes avec une trisomie 21. Sur ces bases, une Phase 2b a démarré en Europe afin de confirmer l'efficacité et la sécurité des AEF0217 sur une cohorte plus large de participants avec une trisomie 21. La Société dispose également d'une plateforme qui a déjà produit un portefeuille de nouveaux CB_1-SSi pour le traitement d'autres maladies du cerveau et des organes périphériques. Ces nouveaux composés partagent le même mécanisme d'action général, mais possèdent des structures et des effets fonctionnels distincts, leur permettant de cibler différentes pathologies et garantissant qu'ils ne sont pas substituables les uns aux autres.

Pour plus d'informations, rendez-vous sur www.aelisfarma.com et suivez-nous sur LinkedIn et X.

AELIS LISTED EURONEXT

ELIGIBLE PEA PME

ISIN : FR0014007ZB4
Mnémonique : AELIS
Compartiment C d'Euronext Paris

Contacts

AELIS FARMA
Pier Vincenzo Piazza
Chief Executive Officer
contact@aelisfarma.com

NewCap
Dusan Oresansky
Relations investisseurs
aelis@newcap.eu
+33 1 44 71 94 92

NewCap
Nicolas Mérigeau
Relations médias
aelis@newcap.eu
+33 1 44 71 94 98

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 déposé auprès de l'Autorité des marchés financiers le 23 avril 2026 sous le numéro D.26-0284.

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.