

Une innovation thérapeutique majeure

Communiqué de presse

Aelis Farma reçoit un avis favorable du Comité Pédiatrique de l'EMA sur le Plan d'Investigation Pédiatrique de AEF0217 dans la trisomie 21

- Le Comité Pédiatrique (PDCO) de l'Agence européenne des médicaments (EMA) a rendu un avis favorable sur le Plan d'Investigation Pédiatrique (PIP) pour le « first in class » d'Aelis Farma, AEF0217, pour le traitement des troubles du comportement adaptatif et des altérations cognitives associés à la trisomie 21 (syndrome de Down).
- Le PDCO a approuvé un programme clinique incluant les enfants de la naissance à moins de 18 ans, selon une approche séquentielle par paliers (des plus âgés vers les plus jeunes). Il a également accepté la formulation actuelle de AEF0217 pour un usage pédiatrique, et jugé approprié et suffisant le programme de toxicologie préclinique déjà réalisé, ainsi que l'approche de modélisation pharmacocinétique de population (PK) pour déterminer les doses chez l'enfant.
- Cette étape réglementaire majeure, pour un traitement ayant vocation à être utilisé chez l'enfant, renforce la crédibilité du programme, sécurise les exigences réglementaires de fin de développement, et améliore la visibilité de la trajectoire européenne vers l'autorisation de mise sur le marché (AMM) de AEF0217.

Bordeaux, France, le 12 janvier 2026 – 7h30 CET – Aelis Farma (ISIN : FR0014007ZB4 – Mnémonique : AELIS, éligible PEA-PME), société biopharmaceutique au stade clinique spécialisé dans le développement de traitements des maladies cérébrales et périphériques impliquant le récepteur CB₁, annonce aujourd’hui que le Comité pédiatrique (PDCO) de l'EMA a émis un avis favorable au consensus sur le Plan d'Investigation Pédiatrique (PIP) de AEF0217 (EMA/PE/0000243385 ; IRIS : 0075800000532) dans le traitement de la trisomie 21.

Un PIP est un schéma de développement rigoureux visant à garantir l'obtention des données nécessaires, via des études dédiées, afin de soutenir à terme une demande d'Autorisation de Mise sur le Marché (AMM) d'un médicament chez l'enfant. L'avis favorable du PDCO sur le PIP élaboré par Aelis Farma pour AEF0217 confirme l'alignement du programme de développement de AEF0217 avec les exigences européennes de développement pédiatrique.

Une étape réglementaire clé pour AEF0217

Le PIP validé par le PDCO couvre les enfants de la naissance à moins de 18 ans et cible le traitement des troubles du comportement adaptatif et des altérations cognitives dans la trisomie 21.

Il comprend notamment un programme clinique progressif par tranches d'âge, soutenu par des études d'extension à long terme et par une modélisation pharmacocinétique de population afin de confirmer ou d'ajuster les doses pédiatriques, ainsi que, si nécessaire, l'adaptation de la formulation actuelle pour les enfants de moins de 2 ans. Le PDCO a également considéré que le dossier de toxicologie préclinique déjà réalisé était approprié et suffisant.

Pour Aelis Farma et AEF0217, l'accord du PDCO est particulièrement significatif car il :

- Renforce la crédibilité réglementaire en validant un plan de développement pédiatrique jugé robuste sur les plans scientifique et méthodologique ;
- Sécurise le programme de développement en établissant des attentes claires et partagées sur les exigences et calendriers pédiatriques, réduisant le risque de demandes « bloquantes » à un stade avancé ;
- Améliore la visibilité de la feuille de route vers les futures demandes d'AMM en Europe, où les obligations pédiatriques constituent un élément clé de validation et de conformité réglementaires ;
- Permet une approche pragmatique et progressive, fondée sur les données générées dans les études antérieures avant d'étendre le développement à des populations de plus en plus jeunes.

Une stratégie clinique progressive alignée avec le programme en cours de la Société

Le PIP s'inscrit pleinement dans le plan de développement clinique d'Aelis Farma évaluant l'efficacité et la sécurité de AEF0217 chez les personnes avec une trisomie 21, structuré en deux volets :

- Le premier volet comprend une étude de Phase 2B chez des adolescents plus âgés et de jeunes adultes avec une trisomie 21, âgés de 16 à 32 ans.
- Le second volet, couvert par le PIP, prévoit des études ultérieures incluant progressivement les enfants âgés de 6 à <16 ans, puis de 2 à <6 ans, et potentiellement de la naissance à <2 ans.

Cette approche progressive vise à fonder les essais de chaque tranche d'âge sur les données issues des études précédentes. L'objectif est de proposer un traitement complémentaire aux prises en charge éducatives et rééducatives existantes, afin d'offrir aux personnes avec une trisomie 21 et à leurs familles davantage de possibilités de progression au quotidien. En recueillant et en analysant de manière systématique les observations et retours d'expérience des participants et de leurs familles, le programme vise également à produire des informations fiables sur les difficultés quotidiennes et les progrès observés chez les enfants avec une trisomie 21. Ce programme devrait faciliter la mise en œuvre d'une prise en charge précoce des enfants, susceptible d'avoir un impact positif sur leur développement, en particulier sur leurs apprentissages et leurs capacités cognitives, ainsi que sur leur qualité de vie globale. Le projet a reçu un soutien important des familles et des associations, démontrant leur engagement en faveur d'initiatives visant à répondre aux besoins des enfants avec une trisomie 21.

Pier Vincenzo Piazza, Directeur général d'Aelis Farma, déclare : « *L'avis favorable du PDCO sur notre Plan d'Investigation Pédiatrique pour AEF0217 constitue une étape majeure pour Aelis Farma et pour la communauté de la trisomie 21. Il valide la robustesse de notre stratégie de développement clinique et fournit un cadre clair et partagé pour évaluer AEF0217 sur l'ensemble de la population pédiatrique (de la naissance à 18 ans), répondant à une forte attente des familles et des associations de patients. Après l'obtention de résultats positifs de notre étude de Phase 2B en cours, qui inclura des adolescents plus âgés et des adultes, nous poursuivrons le développement pédiatrique chez des enfants plus jeunes. La capacité à traiter les enfants tôt au cours de leur développement devrait permettre d'obtenir des gains plus importants en apprentissage, comportement adaptatif et cognition, avec un impact plus important sur la qualité de vie. Après cette étape importante, nous sommes encore plus déterminés à répondre à un besoin médical non satisfait majeur en mettant à disposition un traitement susceptible d'améliorer significativement la qualité de vie des personnes avec une trisomie 21 et de leurs familles.*»

À propos de AEF0217 et du programme clinique dans les troubles du comportement adaptatif et les troubles cognitifs associés à la trisomie 21 : le projet européen ICOD

AEF0217 est le deuxième candidat médicamenteux d'Aelis Farma au stade clinique. Il appartient à une nouvelle classe de médicaments découverte par la Société, les inhibiteurs spécifiques de la signalisation du récepteur CB₁ du système endocannabinoïde (CB₁-SSi). L'hyperactivité du récepteur CB₁ est impliquée dans de nombreuses pathologies cérébrales et périphériques, et notamment dans les altérations cognitives associées à divers troubles du neurodéveloppement et au vieillissement. AEF0217, comme les autres CB₁-SSi, est capable d'inhiber uniquement certaines composantes de l'activité du CB₁. Cette sélectivité moléculaire a permis de développer les premiers inhibiteurs de CB₁ présentant des effets pharmacodynamiques et thérapeutiques bénéfiques, sans les effets indésirables caractéristiques des inhibiteurs de CB₁ de génération précédente, à savoir les antagonistes du CB₁ qui bloquent l'activité globale du récepteur.

AEF0217 est développé comme une nouveau traitement pharmacologique potentiel pour le traitement des troubles cognitifs, avec comme première cible thérapeutique les troubles du comportement adaptatif et de la cognition associés à la trisomie 21.

Le développement clinique de AEF0217 a, à ce jour, achevé avec succès un programme de Phase 1 chez des volontaires sains comprenant trois études indépendantes, ainsi qu'une étude de Phase 1/2 chez de jeunes adultes avec une trisomie 21. L'étude de Phase 2B en cours chez des personnes avec une trisomie 21 sera menée dans 10 centres cliniques dans trois pays (Espagne, France et Italie) et inclura des adolescents plus âgés (16 à 18 ans) et de jeunes adultes (18 à 32 ans). Ces essais s'inscrivent dans le projet européen H2020 ICOD (*Improving COgnition in Down syndrome*, Grant Agreement ID 899986), qui a bénéficié d'un financement de 6 M€ de la Commission européenne.

À 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 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 régulation d'une hyperactivité du récepteur CB₁ 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 et des organes périphériques.

Aelis Farma dispose actuellement de deux candidats médicaments first-in-class au stade clinique : AEF0117, pour le traitement des troubles de l'usage du cannabis (CUD), ayant montré sa capacité à diminuer la consommation de cannabis dans deux études ; et AEF0217, pour les troubles cognitifs, qui a montré en Phase 1/2 un bon profil de sécurité et une amélioration du comportement adaptatif chez de jeunes adultes avec une trisomie 21, et dont une Phase 2B a démarré en Europe afin de confirmer son efficacité et sa sécurité. Les résultats cliniques obtenus avec ces deux composés ont confirmé la sécurité et l'activité thérapeutique des CB₁-SSi chez l'homme. La société développe également un portefeuille de CB₁-SSi innovants pour le traitement d'autres pathologies associées aux dérèglements de l'activité du récepteur CB₁, y compris les maladies touchant les organes périphériques, telles que l'obésité et les troubles métaboliques associés. Les différents candidats-médicaments développés par la société appartiennent à la même classe pharmacologique générale, les CB₁-SSi, mais ont des effets fonctionnels distincts leur permettant de cibler différents types de dérégulation du récepteur CB₁ et garantissant qu'ils ne soient pas substituables les uns aux les autres.

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

For more information, visit www.aelisfarma.com and follow us on [LinkedIn](#) and [Twitter](#).



ISIN : FR0014007ZB4

Mnémonique : AELIS

Compartiment C d'Euronext Paris

Contacts

AELIS FARMA

Pier Vincenzo Piazza

Directeur général

contact@aelisfarma.com

NewCap

Dusan Oresansky / Thomas Cozzolino

Relations investisseurs

aelis@newcap.eu

+33 1 44 71 94 92

NewCap

Arthur Rouillé

Relations médias

aelis@newcap.eu

+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 déposé auprès de l'Autorité des marchés financiers le 28 avril 2025 sous le numéro D.25-0314.

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.