

Communiqué de presse

Aelis Farma annonce les résultats positifs d'une étude rétrospective suggérant que les effets d'AEF0217 chez les personnes avec une trisomie 21 se traduisent par des améliorations perceptibles de la vie quotidienne

- **AEF0217 est le premier inhibiteur spécifique de la signalisation du récepteur CB_1 (CB_1-SSi) développé par Aelis Farma pour le traitement d'un large éventail de troubles cognitifs.**
- **Dans cette étude, les parents/référents de personnes avec une trisomie 21, ayant reçu AEF0217 ou un placebo dans le cadre d'une précédente étude de Phase 1/2, ont été interrogés, par le biais d'un questionnaire, sur les changements observés dans les capacités d'adaptation à la vie quotidienne des participants à l'étude.**
- **Chez les personnes avec une trisomie 21 ayant reçu AEF0217 au cours de la Phase 1/2, les parents/référents ont perçu des améliorations notables et importantes de la capacité à exécuter les tâches de la vie quotidienne, de l'autonomie, des interactions sociales et de la communication. Ces améliorations n'ont pas été observées par les parents/référents des participants ayant reçu du placebo.**
- **La cohérence et l'ampleur des effets positifs observés dans cette étude, qui ne sont pas fréquemment constatées dans les analyses de comportements, suggèrent qu'AEF0217 provoque une amélioration notable de la vie quotidienne des personnes avec une trisomie 21.**
- **AEF0217 est actuellement évalué dans le cadre d'un essai clinique international de Phase 2b chez des personnes avec une trisomie 21. Tel que prévu, les résultats sont attendus d'ici fin 2027.**

Bordeaux, le 6 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 les résultats positifs de l'étude clinique AEF0217-001, une étude observationnelle rétrospective réalisée auprès des parents/référents de personnes avec une trisomie 21 ayant précédemment participé à une étude clinique de Phase 1/2 avec AEF0217.

Lors de l'étude de Phase 1/2 (AEF0217-102), essai clinique randomisé et contrôlé par placebo, 28 participants ont reçu une fois par jour pendant 28 jours soit AEF0217 à la dose de 0,2 mg (n = 18), soit du placebo (n = 10). Comme annoncé en novembre 2024, cette étude a montré qu'AEF0217 était bien toléré et améliorait de manière statistiquement significative la performance dans les tâches de la vie quotidienne, la socialisation et la communication, mesurée au moyen des échelles de comportement adaptatif de Vineland, deuxième édition (VABS-2).

La nouvelle étude (AEF0217-001) n'avait pas pour objectif de démontrer de manière indépendante l'efficacité d'AEF0217, mais de déterminer si les améliorations des comportements adaptatifs mesurées par des échelles psychométriques sophistiquées, telles que la VABS-2 utilisées dans la Phase

1/2, se traduisaient par des changements perceptibles par les parents/référents dans la vie quotidienne des personnes avec une trisomie 21.

Les parents/référents (n = 28) ont été invités à répondre rétrospectivement à un questionnaire en ligne évaluant les changements qu'ils avaient perçus dans les capacités d'adaptation à la vie quotidienne des participants à la précédente étude de Phase 1/2. Vingt-six parents/référents ont consenti à participer à l'étude ; parmi eux, 14 référents du groupe AEF0217 et 8 du groupe placebo ont répondu à la majorité des questions qui ont pu être analysées de façon complète (22 référents au total).

Compte tenu de la petite taille de l'échantillon et de la nature catégorielle des paramètres étudiés, les différences entre groupes ont été analysées en utilisant l'écart moyen standardisé absolu (ASMD), l'approche statistique la plus adaptée pour évaluer l'ampleur de l'effet d'un traitement dans ces conditions [(1)]. Une valeur d'ASMD ≥ 0,2 indique une différence faible mais pertinente, une valeur ≥ 0,5 une différence notable, et une valeur ≥ 0,8 une différence importante [(2)].

Les résultats de cette étude rétrospective (AEF0217-001) montrent que les effets positifs et statistiquement significatifs d'AEF0217, mesurés à l'aide de tests psychométriques sophistiqués lors d'une précédente étude randomisée de Phase 1/2 (AEF0217-102), se traduisent par des améliorations visibles des capacités à exécuter les tâches de la vie quotidienne, de l'autonomie, des interactions sociales et de la communication des personnes avec une trisomie 21.

Améliorations perçues par les parents/référents dans la vie quotidienne, l'autonomie, les interactions sociales et la communication

Perception globale des effets d'AEF0217

Par rapport au groupe placebo (10%), une proportion plus élevée (37,5%) des parents/référents des participants à l'étude de Phase 1/2 traités par AEF0217 a indiqué que les effets observés répondaient à leurs attentes concernant un traitement des troubles cognitifs des personnes avec une trisomie 21.

La perception par les parents/référents de la durée des effets du traitement différait également nettement entre les groupes. Dans le groupe AEF0217, 27% des référents ont perçu des effets persistant bien au-delà de la fin du traitement, tandis que, selon l'ensemble des référents du groupe placebo, les effets diminuaient rapidement après l'arrêt du traitement.

Améliorations perçues dans les différents domaines comportementaux

Les différentes capacités comportementales ont été évaluées au moyen de 19 questions portant sur les principaux domaines (appelés sous-domaines) des capacités à effectuer des tâches de la vie quotidienne, de l'autonomie, de la socialisation et de la communication. Les parents/référents ont évalué les améliorations observées sur une échelle ordinale allant de 0 (aucune amélioration) à 10 (amélioration marquée).

Des différences pertinentes (ASMD > 0,2 ; n = 5), notables (ASMD > 0,5 ; n = 6) et importantes (ASMD > 0,8; n = 5), en faveur d'AEF0217, ont été identifiées dans 16 des 19 sous-domaines évalués (84 %). Aucune différence en faveur du placebo n'a été observée. La plus forte proportion (81%) des différences notables (5 sur 6) et importantes (4 sur 5) en faveur d'AEF0217 concernait les capacités de la vie quotidienne, l'autonomie et la sociabilité, qui sont particulièrement importantes pour le fonctionnement quotidien des personnes avec une trisomie 21.

Une autre différence entre les parents/référents du groupe AEF0217 et ceux du groupe placebo concernait l'ampleur des améliorations rapportées. Ainsi, pour 8 des 11 capacités présentant des différences notables ou importantes, entre 28 et 37% des référents du groupe AEF0217 ont rapporté des améliorations marquées (score > 5 sur une échelle de 0 à 10), tandis que la même proportion des référents du groupe placebo n'a rapporté aucune amélioration (score = 0).

Les améliorations spécifiques observées étaient les suivantes :

- **Capacités de la vie quotidienne et autonomie :** Cinq des huit habilités spécifiques de ce domaine présentaient une différence notable (n = 4) ou importante (n = 1) en faveur d'AEF0217 : 1. Prendre en charge ses besoins personnels (ASMD = 0,82) ; 2. Effectuer les tâches domestiques (ASMD = 0,77) ; 3. S'adapter à de nouvelles situations (ASMD = 0,59) ; 4. Assumer des responsabilités (ASMD = 0,76) ; et 5. Réaliser des activités à l'extérieur du domicile (ASMD = 0,82).
- **Sociabilité :** Les cinq habilités spécifiques du domaine de la sociabilité présentaient tous des différences pertinentes (n = 1), notables (n = 1) ou importantes (n = 3) en faveur d'AEF0217 : 1. Interagir avec les autres (ASMD = 0,35) ; 2. Développer et entretenir des relations interpersonnelles (ASMD = 0,83) ; 3. Faire preuve d'empathie (ASMD = 0,76) ; 4. Participer à des activités de loisirs avec d'autres personnes (ASMD = 0,81) ; et 5. S'adapter à de nouvelles situations (ASMD = 0,92).
- **Communication :** Les six habilités spécifiques du domaine de la communication présentaient tous des différences pertinentes (n = 4), notables (n = 1) ou importantes (n = 1) en faveur d'AEF0217. La capacité à lire et à comprendre un texte présentait une différence notable (ASMD = 0,58), tandis que la fréquence de l'écriture ainsi que l'utilisation de la grammaire et de l'orthographe présentaient la différence importante la plus élevée de l'étude (ASMD = 1,00). Les quatre autres sous-domaines présentaient des différences plus faibles, mais pertinentes (ASMD > 0,2) et concernaient la capacité à : 1. Participer à une conversation (ASMD = 0,37) ; 2. Écouter avec davantage d'attention et répondre de manière plus appropriée (ASMD = 0,24) ; 3. Mieux comprendre les informations orales et non verbales (ASMD = 0,30) ; et 4. Mieux exprimer verbalement ses besoins, ses pensées et ses émotions (ASMD = 0,42). Ces valeurs d'ASMD plus faibles n'étaient pas liées à des améliorations moindres dans le groupe AEF0217 pour ces habilités spécifiques, mais à la présence de certaines améliorations dans le groupe placebo. Au contraire, pour la plupart des capacités spécifiques des autres domaines (vie quotidienne, autonomie et sociabilité), les référents du groupe placebo n'ont rapporté aucune amélioration. Cette observation suggère que l'effet placebo le plus important pour les études évaluant le comportement de personnes avec une trisomie 21 pourrait concerner le domaine de la communication.

En conclusion, les résultats de cette étude rétrospective (AEF0217-101) suggèrent que les améliorations statistiquement significatives mesurées au moyen de tests psychométriques sophistiqués lors d'une précédente étude de Phase 1/2 avec AEF0217 (AEF0217-102) se traduisent par des améliorations de la vie quotidienne des personnes avec une trisomie 21 clairement perceptibles par leurs personnes de référence. La cohérence et l'ampleur des effets observés ici, qui ne sont pas fréquemment observés dans les études du comportement [(3)], renforcent la confiance dans l'impact positif qu'AEF0217 pourrait avoir sur la qualité de vie des personnes avec une trisomie 21.

Le Pr Rafael de la Torre Fornell, investigateur principal des études de Phase 1/2 et rétrospective, déclare :

« Les résultats de cette étude rétrospective sont particulièrement significatifs, car ils suggèrent que les améliorations induites par AEF0217, que nous avions précédemment mesurées au moyen d'outils psychométriques sophistiqués, sont perçues par les personnes de référence comme ayant un impact positif sur la vie quotidienne des personnes avec une trisomie 21.

La cohérence et l'étendue de ces observations, qui montrent un effet d'AEF0217 sur l'ensemble des importants domaines étudiés, tels que l'autonomie, les interactions sociales et la communication, sont particulièrement encourageantes. Bien que cette étude rétrospective n'ait pas été conçue pour démontrer indépendamment l'efficacité du traitement, elle apporte un éclairage complémentaire précieux sur l'impact positif au quotidien des améliorations observées après seulement quatre semaines de traitement par AEF0217.

Actuellement, nous travaillons activement à la conduite d'une étude internationale de Phase 2b avec AEF0217, qui permettra d'approfondir nos connaissances sur sa capacité à améliorer la vie des personnes avec une trisomie 21 et de leurs familles. »

Pier Vincenzo Piazza, cofondateur et Directeur Général d'Aelis Farma, ajoute :
« Ces nouvelles observations encourageantes constituent une étape importante dans notre programme de développement d'AEF0217. Notre objectif central a toujours été de développer un traitement capable d'apporter une amélioration tangible à la vie quotidienne des personnes présentant des troubles cognitifs, notamment en matière d'autonomie, d'interactions sociales et de communication. Nous avons précédemment rapporté qu'AEF0217 améliorait de manière statistiquement significative les comportements adaptatifs des personnes avec une trisomie 21, mesurés par le test psychométrique de référence VABS-2. Le fait de constater aujourd'hui que ces effets d'AEF0217 se traduisent par des améliorations clairement visibles de la vie quotidienne renforce fortement notre confiance dans l'impact positif qu'AEF0217 pourrait avoir sur la qualité de vie des personnes présentant des troubles cognitifs.
Nous sommes aujourd'hui pleinement mobilisés pour mener à bien l'étude internationale de Phase 2b avec AEF0217 chez les personnes avec une trisomie 21. L'étude progresse conformément au calendrier prévu, avec des résultats attendus d'ici fin 2027. Elle représente une étape majeure dans notre ambition de développer un traitement innovant répondant à d'importants besoins médicaux non satisfaits dans le domaine des troubles cognitifs. »

***

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 (CB_1-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 obtenus à ce jour en matière de sécurité et d'efficacité d'AEF0217, Aelis Farma conduit 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 poursuivre 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 le recrutement de 188 participants âgés de 16 à 32 ans dans des centres cliniques situés en France, en Espagne et en Italie. Ils recevront une fois par jour pendant six mois soit un placebo, soit l'une de trois doses d'AEF0217 (0,1 ; 0,2 ou 0,6 mg).
En juillet 2026, après la première revue de sécurité programmée, un 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.
L'étude de Phase 2b se poursuit conformément au calendrier prévu, avec des résultats cliniques attendus d'ici fin 2027. Ces résultats constitueront une étape importante pour confirmer le potentiel thérapeutique d'AEF0217 chez les personnes avec une trisomie 21 et soutenir les prochaines étapes de son développement clinique (études de Phase 3).
Cette étude de Phase 2b s'inscrit dans le cadre du 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.

***

Références :

1. Ferguson, C. J. (2009). An effect size primer: A guide for clinicians and researchers. Journal of Graduate Medical Education, 1(2), 301–304. doi.org
2. Cohen, J. (1988). Statistical power analysis for the behavioral sciences (2nd ed.). Lawrence Erlbaum Associates.
3. Hedges, L. V., & Olkin, I. (1985). Statistical methods for meta-analysis. Academic Press

***

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

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.