

Aelis Farma annonce le démarrage réussi du recrutement de l'étude clinique de Phase 2B avec AEF0217 pour le traitement des troubles comportementaux et cognitifs chez les personnes avec un syndrome de Down (trisomie 21)

- AEF0217 est un inhibiteur spécifique de signalisation du récepteur CB₁ (CB₁-SSi), premier représentant de sa classe, développé pour le traitement des altérations des comportements adaptatifs et de la cognition dans les troubles neurodéveloppementaux, avec le syndrome de Down comme première indication.
- À l'occasion de la Journée mondiale de la trisomie 21, Aelis Farma est heureuse d'annoncer que les trois pays impliqués dans l'étude clinique de Phase 2B avec AEF0217 dans le syndrome de Down recrutent désormais activement.
- Cette étude de Phase 2B devrait inclure 188 participants avec un syndrome de Down, âgés de 16 à 32 ans, dans des centres cliniques en France, en Italie et en Espagne, et évaluera les effets de AEF0217 sur les troubles comportementaux et cognitifs des personnes avec un syndrome de Down.

Bordeaux, France, le 21 mars 2026 – 09h00 CET – Aelis Farma (ISIN : FR0014007ZB4 – Mnémonique : AELIS, éligible PEA-PME), société biopharmaceutique au stade clinique spécialisée dans le développement de traitements pour les maladies cérébrales et périphériques impliquant le récepteur CB₁, annonce aujourd'hui, à l'occasion de la Journée mondiale de la trisomie 21, le lancement réussi de son étude clinique de Phase 2B avec AEF0217 pour le traitement des troubles comportementaux et cognitifs associés au syndrome de Down (trisomie 21), avec un recrutement désormais en cours dans les trois pays participants (Espagne, France et Italie).

La première visite du premier participant (FPFV) a été réalisée en décembre 2025, peu après l'obtention de l'autorisation réglementaire initiale, reflétant la capacité de la Société à exécuter sa feuille de route clinique ainsi que le fort engagement des investigateurs, des participants et des familles. En cette Journée mondiale de la trisomie 21, Aelis Farma est heureuse d'annoncer que le dépistage et le recrutement progressent désormais activement dans les centres des trois pays participants.

Le protocole de cette Phase 2B a été soumis via le système européen d'information sur les essais cliniques (CTIS) et a reçu les autorisations requises de l'Agence européenne des médicaments (EMA), des autorités nationales compétentes concernées et des comités d'éthique en France, en Italie et en Espagne, conformément au Règlement (UE) n° 536/2014 (numéro EU CT : 2025-521013-10-00).

AEF0217 : un potentiel premier traitement pharmacologique des troubles du comportement adaptatif et des troubles cognitifs dans le syndrome de Down

Les personnes avec un syndrome de Down présentent fréquemment des altérations persistantes du comportement adaptatif et de la cognition, pour lesquelles aucun traitement pharmacologique n'est actuellement approuvé ; la prise en charge standard repose principalement sur des interventions

éducatives, comportementales et de soutien, qui sont généralement insuffisantes pour permettre une pleine autonomie et une qualité de vie adéquate.

L'inhibition du récepteur CB₁ du système endocannabinoïde a été proposée comme une nouvelle cible pour améliorer les déficits cognitifs associés à plusieurs pathologies. Le syndrome de Down semble être associé à une hyperactivité du récepteur CB₁, et il a été montré qu'une inhibition du CB₁ améliore les performances cognitives et l'activité neurobiologique dans plusieurs modèles animaux génétiques de troubles neurodéveloppementaux, y compris le syndrome de Down.

AEF0217 est un inhibiteur spécifique de signalisation du récepteur CB₁ (CB₁-SSi), premier représentant d'une nouvelle classe pharmacologique développée par Aelis Farma. AEF0217 et la classe des CB₁-SSi sont conçus pour inhiber sélectivement l'activité pathologique du CB₁ tout en préservant l'activité physiologique du récepteur. Cette sélectivité moléculaire constitue la première approche pharmacologique permettant d'obtenir les effets positifs d'une inhibition du CB₁ sans les effets indésirables qui ont conduit à l'arrêt du développement de la génération précédente d'antagonistes du CB₁, lesquels bloquaient l'ensemble de l'activité du CB₁.

Dans une précédente étude randomisée de Phase 1/2, en double aveugle, contrôlée contre placebo, menée chez de jeunes adultes avec un syndrome de Down (29 participants âgés de 18 à 32 ans), AEF0217 a montré un profil de sécurité et de pharmacocinétique très favorable. En outre, AEF0217 a induit une amélioration statistiquement significative de comportements adaptatifs clés, mesurés par les échelles de comportement adaptatif de Vineland (VABS), tels que la capacité à communiquer, à prendre soin de soi et à développer des interactions sociales, parallèlement à une amélioration de l'activité cérébrale.

Étude de Phase 2B d'Aelis Farma avec AEF0217 pour le traitement des troubles comportementaux et cognitifs associés au syndrome de Down

Cette étude clinique internationale multicentrique de Phase 2B (AEF0217-201) est conçue pour confirmer et étendre les résultats de la Phase 1/2 dans une population plus large (188 contre 29 participants) et sur une durée de traitement plus longue (six mois contre un mois). Il s'agit d'une étude randomisée, en double aveugle, contrôlée contre placebo, en groupes parallèles, qui devrait inclure 188 participants âgés de 16 à 32 ans dans 10 centres experts spécialisés (cinq en France, trois en Italie et deux en Espagne). Les participants seront randomisés selon un ratio 1:1:1:1 pour recevoir une prise orale quotidienne d'AEF0217 (0,1 mg, 0,2 mg ou 0,6 mg) ou un placebo pendant 24 semaines, suivie d'une période de suivi sans traitement de 8 semaines.

Le critère principal de l'étude est la variation par rapport à l'inclusion, après six mois de traitement, des comportements adaptatifs, évalués à l'aide des scores bruts normalisés des neuf sous-domaines des échelles de comportement adaptatif de Vineland, troisième édition (VABS-3). Les critères secondaires comprennent des mesures de la cognition (fluide et cristallisée), de la qualité de vie et de l'efficacité du sommeil. La sécurité sera étroitement surveillée tout au long de l'étude, et un comité indépendant de surveillance des données (IDMC) réalisera une analyse intermédiaire de sécurité après qu'au moins 40 participants auront terminé 12 semaines de traitement.

Le recrutement devrait être achevé d'ici la fin de l'année 2026, et des résultats préliminaires sont attendus au second semestre 2027. La visibilité financière actuelle d'Aelis Farma (T1 2028) s'étend bien au-delà de la fin de cette étude, permettant à la Société de tirer pleinement parti des résultats de la Phase 2B.

Le Professeur Rafael de la Torre Fornel, investigateur principal à l'IMIM (Barcelone, Espagne) et coordinateur global de l'étude, a déclaré :

« Nous sommes ravis de participer à cette étude majeure, qui vise à démontrer l'efficacité d'un traitement prometteur pour améliorer le fonctionnement adaptatif, les compétences de la vie

quotidienne et, en définitive, l'autonomie des personnes avec un syndrome de Down. Le démarrage réussi de l'étude et le recrutement en cours reflètent la préparation minutieuse et le professionnalisme des équipes des centres, ainsi que la forte mobilisation des personnes avec un syndrome de Down et de leurs familles. Nous tenons à les remercier tous pour leur soutien remarquable. Il n'existe actuellement aucune option pharmacologique approuvée pour améliorer le comportement adaptatif et la cognition chez les personnes avec un syndrome de Down. Cette étude constitue une étape clé vers la mise à disposition potentielle d'un traitement apportant des bénéfices tangibles aux personnes avec un syndrome de Down et à leurs familles. »

Pier Vincenzo Piazza, Directeur Général d'Aelis Farma, conclut :

« Le démarrage réussi du recrutement de notre étude de Phase 2B constitue une étape importante dans le développement clinique de AEF0217 et une démonstration concrète qu'Aelis Farma exécute sa feuille de route avec efficacité opérationnelle. Je tiens à remercier les investigateurs et les équipes des sites cliniques pour leur engagement remarquable, ainsi que tous les participants et leurs familles pour leur confiance et leur implication. Enfin, mes remerciements vont à l'équipe d'Aelis Farma pour son engagement fantastique et son travail acharné. Notre ambition collective est claire : développer le premier traitement capable d'améliorer la qualité de vie et l'autonomie des personnes avec un syndrome de Down. Cette étude avec AEF0217 pourrait concrétiser notre espoir d'aider les personnes avec un syndrome de Down et ouvrir la voie au traitement d'un spectre plus large de pathologies associées à des troubles cognitifs. »

À propos d'AEELIS 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 chez des personnes avec une trisomie 21. 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 nouveaux 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 autres.

Pour plus d'informations, rendez-vous sur www.aelisfarma.com et suivez-nous sur [LinkedIn](#) et [Twitter](#).



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

Contacts

AELIS FARMA

Pier Vincenzo Piazza
Chief Executive Officer
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.