

Aelis Farma reçoit une recommandation positive du Comité Indépendant de Surveillance des Données pour la poursuite sans modification de l'étude de Phase 2b d'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 la Phase 2b en cours conformément au protocole actuel.
- Ces résultats viennent renforcer le profil favorable de sécurité et de tolérabilité préalablement observé avec AEF0217 lors de la précédente étude de Phase 1/2 chez des personnes avec une trisomie 21.
- Le recrutement progresse conformément aux attentes, avec 65 participants randomisés et 5 en cours de randomisation sur les 188 participants prévus.

Bordeaux, le 16 juillet 2026 – 7h00 CEST – 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 que le Comité Indépendant de Surveillance des Données (Independent Data Monitoring Committee, « IDMC ») a recommandé la poursuite, sans modification, de l'essai clinique de Phase 2b en cours, évaluant AEF0217 chez des adultes et des adolescents de plus de 16 ans avec une trisomie 21.

L'IDMC est un comité indépendant composé d'experts en pharmacologie clinique, recherche clinique, pédiatrie et trisomie 21. Son rôle consiste à examiner périodiquement les données de sécurité et de tolérabilité générées au cours de l'étude et à formuler des recommandations indépendantes concernant sa poursuite.

Le comité a conduit la première revue de sécurité planifiée de l'étude de Phase 2b après que plus de 30 participants aient complété au moins quatre semaines de traitement, conformément à la Charte de l'IDMC de l'étude. L'examen reposait sur les données de sécurité en aveugle provenant de 42 participants randomisés, dont 32 participants avaient complété au moins quatre semaines de traitement à la date de clôture des données du 4 juin 2026.

L'examen a montré qu'aucun événement indésirable grave ou sévère n'a été rapporté, que tous les événements indésirables rapportés étaient d'intensité légère et qu'aucun nouveau problème de sécurité n'a été identifié. De plus, aucun des événements indésirables rapportés n'a été considéré par les investigateurs comme lié au traitement expérimental. Enfin, aucun participant n'a interrompu le traitement ni quitté l'étude après la randomisation en raison d'un événement indésirable.

À la suite de cette revue, l'IDMC a recommandé que l'essai se poursuive conformément à la version actuelle du protocole, sans modifications.

Des données de sécurité cohérentes avec celles de la précédente étude de Phase 1/2 dans la trisomie 21

Les conclusions de cette première revue de sécurité de Phase 2b sont cohérentes et viennent renforcer le profil favorable de sécurité et de tolérabilité précédemment observé avec AEF0217.

Dans la précédente étude de Phase 1/2 randomisée, en double aveugle, contrôlée contre placebo, 29 jeunes adultes avec une trisomie 21 avaient reçu soit AEF0217 à la dose de 0,2 mg une fois par jour, soit un placebo pendant quatre semaines, selon un ratio de randomisation de 2:1. La sécurité et la tolérabilité étaient les objectifs principaux de l'étude.

Dans cette étude, les événements indésirables étaient comparables entre les groupes AEF0217 et placebo, majoritairement d'intensité légère et considérés comme non liés au traitement. Aucun événement indésirable grave ou sévère n'a été rapporté, et aucun participant n'a interrompu le traitement en raison d'un événement indésirable.

Les observations de sécurité issues de l'étude de Phase 2b en cours étendent ces résultats antérieurs à la population plus large d'une étude multinationale qui inclut des adolescents ayant au moins 16 ans et trois doses d'AEF0217 — 0,1 mg, 0,2 mg et 0,6 mg une fois par jour.

Pris dans leur ensemble, les données cliniques générées à ce jour confortent le profil favorable de sécurité d'AEF0217 chez les personnes avec une trisomie 21.

Un profil de sécurité cohérent avec le mécanisme biomimétique des CB₁-SSi

AEF0217 appartient à la nouvelle classe pharmacologique des inhibiteurs spécifiques de signalisation du récepteur CB₁, ou CB₁-SSi, découverts et développés par Aelis Farma.

Les CB₁-SSi reposent sur la découverte d'un mécanisme de régulation naturel utilisé par l'organisme pour contrer l'hyperactivité pathologique du récepteur CB₁. En mimant ce mécanisme naturel, les CB₁-SSi sont conçus pour inhiber sélectivement les composantes de la signalisation du récepteur CB₁ associées aux maladies, tout en préservant l'activité physiologique normale du récepteur.

Cette approche biomimétique et spécifique de la signalisation diffère fondamentalement des générations précédentes d'antagonistes du récepteur CB₁, qui bloquaient largement l'activité du récepteur CB₁ et étaient associés à des effets indésirables qui limitaient leur utilisation clinique.

Les observations cliniques favorables de sécurité obtenues à ce jour avec AEF0217 sont cohérentes avec le profil attendu de cette approche pharmacologique sélective.

Un recrutement qui progresse conformément aux objectifs de la Société

L'étude de Phase 2b randomisée, en double aveugle et contrôlée contre placebo évalue l'efficacité, la sécurité et la tolérabilité d'AEF0217 administré une fois par jour pendant 24 semaines chez des adultes et des adolescents de plus de 16 ans avec une trisomie 21.

Un total de 188 participants âgés de 16 à 32 ans devraient être recrutés dans des centres cliniques en France, en Espagne et en Italie. Les participants sont randomisés pour recevoir l'une des trois doses d'AEF0217 — 0,1 mg, 0,2 mg ou 0,6 mg — ou un placebo.

À ce jour, 65 participants ont été randomisés et 5 autres achèvent actuellement le processus de randomisation, représentant environ 37% de la population totale prévue dans l'étude.

Aelis Farma maintient son objectif de finaliser le recrutement des 188 participants avant la fin de 2026. Sous réserve de l'achèvement du recrutement et du suivi de l'étude conformément au calendrier prévu, la Société prévoit de communiquer les résultats de l'étude à la fin d'année 2027.

La prochaine revue planifiée de l'IDMC évaluera le profil de sécurité plus large d'AEF0217 une fois qu'au moins 40 participants auront complété 12 semaines de traitement.

Pier Vincenzo Piazza, Directeur Général d'Aelis Farma, a déclaré : « *Nous sommes très satisfaits de cette recommandation positive du comité indépendant de surveillance des données, qui permet à l'étude de Phase 2b d'AEF0217 de se poursuivre comme prévu et sans aucune modification du protocole. Les données de sécurité examinées à ce jour sont particulièrement encourageantes. Tous les événements indésirables rapportés étaient d'intensité légère, aucun n'a été considéré comme lié au traitement expérimental, et aucun événement indésirable grave ou sévère n'a été rapporté.* »

Ces résultats sont cohérents avec le profil favorable de sécurité et de tolérabilité précédemment observé avec AEF0217 chez des volontaires sains et chez de jeunes adultes avec une trisomie 21. Ils viennent renforcer davantage le profil distinctif de notre approche pharmacologique CB₁-SSi, qui est conçue pour corriger l'activité pathologique du récepteur CB₁ sans interférer avec ses fonctions physiologiques normales.

Nous souhaitons remercier chaleureusement les participants, leurs familles et leurs aidants, ainsi que les investigateurs et les équipes cliniques impliqués dans cette étude. Le recrutement progresse comme prévu, et nous restons pleinement mobilisés pour finaliser les inclusions avant la fin de l'année et communiquer les résultats d'ici la fin de l'année 2027. Cette étude constitue une étape importante vers la possibilité de proposer le premier traitement pharmacologique susceptible d'améliorer les fonctions cognitives et adaptatives des personnes avec une trisomie 21. »

À propos d'AEF0217 et de son programme de développement clinique dans la trisomie 21

AEF0217 est le deuxième candidat médicament au stade clinique d'Aelis Farma et appartient à la nouvelle classe pharmacologique des inhibiteurs spécifiques de signalisation du récepteur CB₁ du système endocannabinoïde, ou CB₁-SSi, découverts et développés par la Société. L'hyperactivité du récepteur CB₁ est impliquée dans plusieurs troubles cérébraux et périphériques, notamment les troubles cognitifs associés aux conditions neurodéveloppementales et au vieillissement. Contrairement aux antagonistes CB₁ de génération précédente, qui bloquent l'activité globale du récepteur, AEF0217 est conçu pour inhiber sélectivement uniquement les composantes de la signalisation CB₁ associées à l'activité pathologique. Cette sélectivité moléculaire vise à préserver les fonctions physiologiques normales du récepteur tout en délivrant des effets pharmacodynamiques et thérapeutiques bénéfiques.

AEF0217 est développé comme traitement pharmacologique potentiel des troubles cognitifs, avec un focus initial sur les déficits du comportement adaptatif et de la cognition associés à la trisomie 21. AEF0217 a complété avec succès un programme de Phase 1 chez des volontaires sains, comprenant trois études, ainsi qu'une étude randomisée de Phase 1/2 chez 29 jeunes adultes avec une trisomie 21, dans laquelle AEF0217 était bien toléré et a montré des effets positifs statistiquement significatifs sur le comportement adaptatif, la cognition et des paramètres électrophysiologiques.

L'étude de Phase 2b en cours (AEF0217-201) est un essai clinique multicentrique de Phase 2b, randomisé, en double aveugle, contrôlé contre placebo, en groupes parallèles, conçu pour évaluer l'efficacité, la sécurité et la tolérabilité d'AEF0217 pendant 24 semaines de traitement. L'étude prévoit d'inclure 188 participants âgés de 16 à 32 ans, randomisés selon un ratio 1:1:1:1 pour recevoir AEF0217 aux doses de 0,1 mg, 0,2 mg ou 0,6 mg une fois par jour, ou un placebo correspondant. L'objectif principal est d'évaluer l'effet d'AEF0217 sur le comportement adaptatif. L'étude inclut également des évaluations de la cognition, du sommeil, de la qualité de vie, de la sécurité et de la tolérabilité.

L'essai est mené dans plusieurs centres cliniques en France, en Espagne et en Italie dans le cadre du projet européen H2020 ICOD — Improving COgnition in Down syndrome, Convention de subvention n° 899986 — qui a reçu un financement de 6 millions d'euros de la Commission européenne.

À propos d'ÆLIS 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. Ils 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
Relations investisseurs
aelis@newcap.eu
+33 1 44 71 94 92

NewCap

Nicolas Mérieau
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.