

BORDEAUX

Un traitement prometteur pour les déficits cognitifs liés à la trisomie 21

La société biopharmaceutique Aelis Farma développe une nouvelle famille de médicaments. Une étude montre l'efficacité de son composé sur l'activité cérébrale des porteurs du syndrome de Down

Gwenaél Badets
g.badets@sudouest.fr

Les mois se suivent et ne se ressemblent pas pour la société biopharmaceutique bordelaise Aelis Farma, qui développe depuis 2013 une nouvelle famille de médicaments, les CBI-SSi(1).

En septembre, une étude sur l'efficacité de son traitement contre l'addiction au cannabis n'avait pas atteint son objectif principal, précipitant sa plongée en bourse (lire ci-contre). Deux mois plus tard, la biotech annonce des résultats « dépassant toutes les espérances » concernant la sécurité et l'efficacité d'un autre composé, cette fois pour les troubles cognitifs liés à la trisomie 21. « Le CBI-SSi AEF02017 [c'est son nom, NDLR] est un médicament qui peut être utilisé pour traiter plusieurs déficits cognitifs », expose le docteur Pier-Vincenzo Piazza, directeur général d'Aelis, ancien directeur de recherche de l'Inserm et fondateur du Neurocentre Magendie.

Inattendu

« La première indication que nous avons explorée est la trisomie 21 car il existe des besoins très importants. Si des progrès médicaux physiques ont permis d'augmenter l'espérance de vie des porteurs du syndrome de Down de dix-neuf ans (dans les an-

nées 1970) à 66 ans, le sujet des problèmes cognitifs reste entier. Et on se retrouve avec des familles angoissées à l'idée que leurs enfants leur survivent. »

Cette étude de phase 1/2, d'une durée de quatre semaines, a été menée à Madrid et Barcelone auprès de 29 adultes de 18 à 35 ans. « Le premier objectif était d'évaluer la sécurité et la tolérabilité du médicament – un souci premier pour les familles », précise le Dr Piazza, selon qui « les résultats sont excellents ».

L'autre objectif : évaluer son efficacité sur trois critères. « On a d'abord mesuré l'activité cérébrale des patients pendant une tâche de mémoire de travail. Chez eux, elle est plus élevée, car ces tâches les fatiguent. Ils doivent mobiliser plus de ressources. Or, nous avons observé que leur activité était ramenée au niveau d'une personne "neurotypique". »

Deuxième critère, la flexibilité cognitive (la capacité à utiliser des informations apprises dans un contexte différent pour résoudre un nouveau problème). « On constate aussi une tendance à l'amélioration. » Et la cerise sur le gâteau : « Là où nous avons obtenu les effets les plus importants, et contre toute attente, c'est sur le comportement adaptatif », relève Stéphanie Monlezun, directrice des opérations.

« Tous les experts avec qui nous avons travaillé nous avaient dit : "Ne



Pier-Vincenzo Piazza, directeur général, et Stéphanie Monlezun, directrice des opérations. ARCHIVES THIERRY DAVID / SO

vous faites pas de faux espoirs, agir via un médicament sur les aspects les plus intégrés, c'est du jamais vu" », sourit le Dr Piazza. « Or, nous avons constaté une amélioration sur l'expression et la capacité à écrire. Et aussi une amélioration des savoir-faire sociaux. »

Nouvelle étude

Le Dr Piazza estime que ces résultats sont « les meilleurs jamais observés pour la trisomie 21. Ils indiquent que nous avons entre les mains un traitement capable de faire une différence pour la qualité de vie de ces personnes. Tout cela nous touche énormément au niveau émotionnel, car cela fait longtemps que nous travaillons avec des familles. »

La prochaine étape, c'est une étude de plus grande envergure, pendant six mois, dans une dizaine de centres cliniques répartis dans trois pays, auprès de 200 à 250 personnes. Elle devrait commencer mi-2025. « Des la-

SECOUÉ EN BOURSE

Ce résultat tombe à point pour Aelis, qui a fortement décroché en bourse en septembre. Coté à 11,40 € le 3, la biotech a chuté à 4,54 € le 4. Fin novembre, l'action s'établissait autour de 2,90 €. Moins 75 % par rapport au printemps. « Les résultats ont été mal reçus par les marchés, qui ont réagi comme si le composé était mort », commente le Dr Piazza. Or, si notre critère principal n'a pas été atteint, le résultat n'est pas vraiment négatif. On repart sur une autre phase 2, ce qui retarde une éventuelle sur le marché de deux ans. » En vérité, ce que le marché n'a pas aimé, c'est qu'un passage direct en phase 3 de son traitement contre l'addiction au cannabis aurait débloqué une option à 100 millions d'euros du laboratoire Indivior. De quoi regretter d'être coté en bourse ? « Non, la correction a certes été sévère, mais nous sommes une équipe prévoyante. Nous avons de l'argent pour financer nos prochaines études, avec une visibilité jusqu'à fin 2026 afin de développer de nouveaux composés et renforcer notre valeur. » Preuve de cette confiance en l'avenir, Aelis inaugure un nouveau laboratoire demain à l'Institut européen de chimie et biologie (IECB) de Pessac.

boratoires suivent de près nos résultats », glisse le Dr Piazza.

À un stade moins avancé, Aelis Farma explore des applications de ce médicament pour traiter des déficits cognitifs associés à d'autres patholo-

gies : autisme, vieillissement, voire schizophrénie et maladie de Parkinson.

(1) Les inhibiteurs spécifiques de la signalisation du récepteur CBI du système endocannabinoïde.