

COMMUNIQUÉ DE PRESSE  
Lundi 19 avril 2021

## Trisomie 21 : une molécule qui cible les troubles cognitifs entre dans l'étape décisive des essais cliniques.

De nombreux progrès ont été réalisés ces dernières années pour comprendre les causes de la déficience intellectuelle des personnes porteuses de trisomie 21, mais la recherche thérapeutique sur la trisomie 21 vise également à améliorer les fonctions cognitives et d'apprentissage des personnes porteuses de trisomie 21. C'est l'ambition de la Fondation Jérôme Lejeune qui œuvre depuis 25 ans à la recherche d'un traitement, en s'appuyant notamment sur l'expertise de son conseil et de sa direction scientifiques ainsi que sur celle de l'Institut Jérôme Lejeune qui assure à Paris le suivi d'un peu plus de 11000 patients. Elle finance par ailleurs de nombreux projets de recherche lancés dans cette course contre la déficience intellectuelle. Aelis Farma, société de biotechnologie créée en 2014, spécialisée dans le traitement des maladies neurologiques, a permis d'aller au-delà des travaux initiaux des chercheurs avec le développement d'une nouvelle classe de médicaments, les « inhibiteurs spécifiques du récepteur CB1-SSi ». Parmi eux, la molécule AEF0217.

### La molécule AEF0217 et le projet ICOD

La Fondation Jérôme Lejeune a participé aux travaux initiaux de recherche dès 2013 et à des travaux complémentaires en 2019, parallèlement au développement pharmaceutique de cette molécule par Aelis Farma. Certains prélèvements nécessaires proviennent de la biobanque BioJeL® de l'Institut Jérôme Lejeune. La molécule AEF0217 qui cible les troubles cognitifs des personnes porteuses de trisomie 21<sup>1</sup> est maintenant évaluée et développée dans le cadre du projet ICOD (*Improving COgnition in Down syndrome*), coordonné par l'Institut de recherche médicale de l'Hôpital del Mar en Espagne.

La Commission européenne, via son programme pour la recherche et le développement Horizon 2020, vient d'accorder près de 6 millions d'euros à un consortium européen dont fait partie Aelis Farma. Ce financement permettra de tester durant les cinq prochaines années la molécule AEF0217 chez l'homme, au cours d'essais cliniques de phase 1 puis de phase 2. Cinq

---

<sup>1</sup> Testée chez l'animal, cette molécule réduit sélectivement l'hyperactivité du récepteur CB1 sans en modifier l'activité basale, c'est-à-dire sans induire d'effets secondaires comportementaux. CB1 est le principal récepteur du système endocannabinoïde, responsable de la régulation d'un large nombre de processus physiologiques et cognitifs. Des études récentes ont mis en évidence le lien entre une hyperactivité de ce récepteur et les déficits cognitifs des personnes porteuses de trisomie 21.

centres cliniques seront impliqués, en Espagne, en Italie, et en France, dont l'institut Jérôme Lejeune à Paris. Pour le Professeur Rafael de la Torre, coordinateur du projet ICOD, « l'AEF0217 laisse espérer une grande efficacité thérapeutique, couplée à une excellente tolérabilité, un critère essentiel dans la prise en charge de personnes aussi vulnérables que celles porteuses du syndrome de Down. Nous sommes très heureux que le projet ICOD ait reçu cet important financement qui nous permettra d'accélérer significativement le développement de cette approche thérapeutique innovante ».

Catherine Lemonnier, directrice de la Recherche de la Fondation Jérôme Lejeune, précise que : « Les premiers résultats sur cette cible thérapeutique ont été démontrés par les chercheurs de Barcelone avec l'aide de la Fondation Jérôme Lejeune. La société Aelis Farma a mis au point une nouvelle classe thérapeutique dont l'AEF 217 fait partie et en a défini l'efficacité sur différents modèles animaux de trisomie 21. La Fondation Jérôme Lejeune suit avec grand intérêt et vigilance les différentes étapes de développement chez l'homme, étapes indispensables et nécessaires pour confirmer la bonne tolérance des personnes avec trisomie 21 et l'efficacité de cette nouvelle molécule AEF0217 sur la capacité d'apprentissage de ces personnes. L'Institut Jérôme Lejeune participe aux différentes réunions du consortium (communication et réunions scientifiques) et devrait prendre part au programme de recherche clinique de phase 2 dès 2023 ».