

## **Primer ensayo clínico de un nuevo medicamento para mejorar la función cognitiva de personas con síndrome de Down**

- ***El Instituto Hospital del Mar de Investigaciones Médicas lidera el estudio que evaluará si una nueva molécula puede servir para mejorar el rendimiento cognitivo de las personas con síndrome de Down***
- ***El estudio se inscribe en el proyecto ICOD para la mejora de la cognición en el síndrome de Down, impulsado por la Unión Europea que por primera vez financia un proyecto de estas características. El tratamiento ya ha superado la fase de ensayo con voluntarios sin el síndrome de Down, en el que se buscaba certificar la seguridad y tolerabilidad del medicamento***
- ***En esta nueva fase se validará la seguridad del tratamiento en personas con síndrome de Down y se tendrán los primeros indicios de eficacia. Se calcula que los resultados pueden estar disponibles a mediados de 2023***

**Barcelona, 2 de diciembre de 2022.** – El Instituto Hospital del Mar de Investigaciones Médicas (IMIM-Hospital del Mar) pone en marcha un ensayo clínico (Fase Ib) para validar la seguridad y tolerabilidad de un nuevo tratamiento para la mejora de la función cognitiva en personas con síndrome de Down y evaluar preliminarmente su eficacia. El ensayo se inscribe en el proyecto ICOD (Improving Cognition in Down Syndrome) impulsado por la Unión Europea en el marco del [programa financiación de I+D Horizon 2020](#), con una subvención de seis millones de euros, y liderado por el IMIM-Hospital del Mar. Es el primer estudio que analiza la viabilidad de un nuevo tipo de abordaje en este campo.

Para llevarlo a cabo, el equipo del IMIM-Hospital del Mar, liderado por el Dr Rafael de la Torre, coordinador del proyecto ICOD, reclutará a 45 personas de entre 18 y 35 años con el síndrome de Down. Esta fase del estudio llega después de superar las pruebas con animales y voluntarios sin síndrome de Down, que han mostrado la seguridad y tolerabilidad del tratamiento.

### **Nuevo abordaje**

Este tratamiento se basa en la modulación del funcionamiento del sistema endocannabinoide del cerebro. Según varios estudios, las personas con síndrome de Down presentan hiperactividad del receptor cannabinoide CB1, y su modulación con inhibidores específicos mejora de forma drástica el rendimiento cognitivo en modelos animales. Basándose en este principio, la empresa francesa Aelis Farma ha desarrollado un innovador abordaje, a través de una nueva molécula, llamada AF0217, la primera de su tipo, que actúa imitando un mecanismo de defensa natural del cerebro para contrarrestar la hiperactividad de ese receptor.

El Dr. Rafael de la Torre ha apuntado que con el estudio que ahora se pone en marcha **“no sólo demostraremos que el producto es seguro y bien tolerado por personas con síndrome de Down, sino que tenemos herramientas para monitorizar si el tratamiento tiene efectos positivos en la cognición en estas personas”**. Las anteriores fases del ensayo clínico, aprobadas por la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS), han demostrado que la molécula desarrollada es segura y se tolera bien, sin efectos secundarios de importancia. Esto es **“de especial importancia para la aceptación del tratamiento por parte de las familias de las personas con síndrome de Down”**, añade.

### Nota de premsa

Los voluntarios que participarán en el estudio se dividirán entre quienes tomarán el medicamento, una solución oral que se toma con agua, y los que recibirán placebo. Todo lo harán durante 28 días, durante los cuales se hará el seguimiento de su respuesta al tratamiento. Antes de iniciarlo y al final, se les harán pruebas de rendimiento cognitivo y un electroencefalograma para poder tener una primera visión de cómo el tratamiento afecta a sus habilidades cognitivas.

Una vez obtenidos los resultados de esta fase del desarrollo clínico, se planteará un nuevo estudio, esta vez con varios centros de toda Europa y con un mayor número de participantes voluntarios, para confirmar los efectos de la nueva molécula sobre el rendimiento cognitivo de las personas con síndrome de Down (estudio en Fase II). La intención del equipo impulsor es ponerlo en marcha el verano del próximo año. El objetivo final es conseguir un tratamiento que mejore la memoria de trabajo de estas personas, un déficit cognitivo clave en esta patología. La memoria de trabajo es aquella referida al conjunto de procesos que permiten el almacenamiento y manipulación temporal de la información para la realización de tareas cognitivas complejas, tales como la comprensión del lenguaje, la lectura, las habilidades matemáticas, el aprendizaje o el razonamiento. No se descarta que el mecanismo de acción del nuevo tratamiento pueda resultar útil en otras discapacidades intelectuales, como es el caso del síndrome de la X-Frágil, u otras enfermedades que provocan deterioro cognitivo como son las neurodegenerativas.

En relación con el inicio del ensayo clínico, el Dr. Joaquín Arribas, director de investigación del Parc de Salut Mar y director del IMIM-Hospital del Mar, ha querido destacar que ***"el Instituto Hospital del Mar de Investigaciones Médicas no es solo uno de los centros de investigación pioneros del Estado, sino que su apuesta por la investigación de primera línea da importantes frutos. De esta manera, solo en el año 2021 se llevaron a cabo o iniciaron 155 ensayos clínicos, sobre todo en los campos de la oncología y la investigación clínica traslacional. El que ahora arranca en personas con síndrome de Down viene a cubrir un campo en el cual no se han registrado avances en los últimos años, la calidad de vida de estas personas. A todo ello hay que sumar el reciente anuncio de la Agencia Europea del Medicamento de confiar en el Hospital del Mar y el IMIM para evaluar medicamentos utilizando datos de la vida real"***.

Aquellas personas que quieran tener más información sobre el proyecto ICOD y el ensayo clínico, la encontrarán en la página web <https://www.imim.cat/estudis-clinics/17/assaig-clinic-en-persones-amb-sindrome-de-down-para-a-la-mejora-de-las-funciones-cognitivas>

Y sobre el proyecto ICOD <https://www.icod-project.eu/es/home>

#### Más información

Servicio de Comunicación IMIM/Hospital del Mar: Marta Calsina 93 3160680 [mcalsina@imim.es](mailto:mcalsina@imim.es),  
David Collantes 600402785 [dcollantes@psmar.cat](mailto:dcollantes@psmar.cat)