

Prometedores resultados del ensayo clínico de un medicamento que mejora la función cognitiva en el síndrome de Down

- ***La fase 1/2 del ensayo clínico demuestra que la administración de la molécula AEF0217 desarrollada por la biotecnológica Aelis Farma, es segura y puede mejorar habilidades clave como la comunicación, las interacciones sociales y la vida diaria de las personas con síndrome de Down***
- ***Estos resultados refuerzan el inicio del ensayo clínico de fase 2, a través de un estudio multicéntrico internacional con personas con síndrome de Down, centrado en la dosis necesaria para lograr el objetivo del tratamiento***

Barcelona, 17 de diciembre de 2024. – El proyecto **ICOD** (Improving Condition in Down syndrome), un estudio pionero en abordar las dificultades cognitivas asociadas al **síndrome de Down**, ha demostrado la **seguridad del tratamiento** con la **molécula AEF0217, desarrollada por la biotecnológica francesa Aelis Farma**, así como **su eficacia en la mejora de la función cognitiva en estas personas**. El estudio ha sido liderado por el Hospital del Mar Research Institute.

Esta fase del ensayo (fase 1/2 del proyecto), financiado por la Unión Europea en el marco del programa de financiación I+D Horizon 2020 y Aelis Farma, se ha llevado a cabo con 29 personas con síndrome de Down de entre 18 y 35 años, con discapacidad leve o moderada. El objetivo era probar la seguridad de la administración del tratamiento, así como explorar el potencial para mejorar la cognición y la funcionalidad diaria de los participantes. En una fase previa, ya se había validado su seguridad en personas sin este síndrome.

Para llevar a cabo el estudio, a los voluntarios se les administró la molécula AEF0217, desarrollada por Aelis Farma, o placebo, durante 28 días. Los resultados, que ahora se están publicando, muestran tanto la seguridad del tratamiento como la mejora de las funciones cognitivas en las personas que lo recibieron en comparación con las que recibieron placebo.

Medido con escalas de referencia, se ha demostrado que **AEF0217 mejora significativamente las habilidades de comportamiento en las áreas de comunicación, habilidades de la vida diaria e interacciones sociales**. Estas mejoras también se asociaron a una tendencia constante hacia una mayor flexibilidad cognitiva, que es la capacidad de adaptarse a nuevas situaciones o cambios.

Además, los estudios con electroencefalografía, que analizan el funcionamiento eléctrico cerebral espontáneo, muestran cambios estadísticamente significativos en la función cerebral después del tratamiento AEF0217, indicando que las personas con síndrome de Down necesitaban menos esfuerzo para completar una tarea de memoria laboral. Estos resultados refuerzan la idea que el tratamiento actúa eficazmente a nivel cerebral, cognitivo y funcional, proporcionando datos iniciales prometedores concordantes sobre su potencial beneficioso.

El Dr. Rafael de la Torre, que coordina el proyecto ICOD y realiza los estudios clínicos en el Hospital del Mar Research Institute con la doctora Ana Aldea, explica que ***"los prometedores e impresionantes resultados de este estudio generan una esperanza real de desarrollar un tratamiento seguro y eficaz para las disfunciones cognitivas en personas con síndrome de Down"***. Y añade que ***"los datos de eficacia son especialmente sorprendentes, ya que abordan dominios cruciales de la adaptación, como las habilidades de expresión y escritura, así como las habilidades de la vida diaria y las interacciones sociales. Estos efectos, obtenidos después de solo cuatro"***

semanas de tratamiento, son los primeros en el campo del síndrome de Down y representan un importante paso adelante hacia el desarrollo de un tratamiento que pueda mejorar significativamente la autonomía y la adaptación de estas personas".

Down Catalunya, entidad representante del colectivo en Cataluña y que ha colaborado con el Hospital del Mar Research Institute en el proyecto, valora ***"muy positivamente estos resultados, por su impacto en la mejora de la calidad de vida de las personas con síndrome de Down y, en general, con discapacidad intelectual y del desarrollo"***.

Un nuevo enfoque terapéutico

La molécula desarrollada por Aelis Farma se basa en el hecho que las personas con síndrome de Down tienen **hiperactividad del receptor cannabinoide CB1**, según diversos estudios, que indican que su modulación con inhibidores específicos mejora drásticamente el rendimiento cognitivo en modelos animales. El tratamiento con AEF0217, el primer fármaco de una nueva clase farmacológica, *CB1 Receptor Signaling Specific Inhibitors* (CB1-SSi), imita un mecanismo de defensa natural del cerebro para contrarrestar la hiperactividad de este receptor. Paralelamente, también se estudia la función del genotipo APOE4, vinculado a la fisiología endocannabinoide y que es el principal factor de riesgo genético para el Alzheimer.

En los trabajos también ha participado el equipo del Dr. Diego Real de Asúa, del Hospital de la Princesa de Madrid. Para llevarlo a cabo ha sido necesaria la colaboración de los participantes, sus familias y asociaciones familiares, que han dado apoyo al proyecto y han ayudado a completar este ensayo clínico pionero.

Siguiente etapa: estudios internacionales

Los resultados obtenidos refuerzan la continuidad del proyecto y permiten avanzar hacia la siguiente etapa: un **estudio multicéntrico internacional de fase 2** que empezará a mediados del año que viene. Este ensayo se centrará en determinar la dosis adecuada del tratamiento para maximizar los beneficios. El objetivo será profundizar en la mejora tanto de la funcionalidad en la vida diaria como de las funciones cognitivas específicas en personas con síndrome de Down.

Más información

Servicio de Comunicación Instituto de Investigación Hospital del Mar: Marta Calsina 93 3160680 mcalsina@researchmar.net, David Collantes 600402785 dcollantes@hospitaldelmar.cat