

Primer assaig clínic d'un nou medicament per a millorar la funció cognitiva de persones amb la síndrome de Down

- *L'Institut Hospital del Mar d'Investigacions Mèdiques lidera l'estudi que avaluarà si una nova molècula pot servir per a millorar el rendiment cognitiu de les persones amb la síndrome de Down*
- *L'estudi s'inscriu al projecte ICOD per a la millora de la cognició en la síndrome de Down, impulsat per la Unió Europea que per primera vegada finança un projecte d'aquestes característiques. El tractament ja ha superat la fase d'assaig amb voluntaris sense la síndrome de Down, a la qual es buscava certificar la seguretat i tolerabilitat del medicament*
- *En aquesta nova fase es validarà la seguretat del tractament en persones amb la síndrome de Down i es tindran els primers indicis d'eficàcia. Es calcula que els resultats poden estar disponibles a mitjan 2023*

Barcelona, 2 de desembre de 2022. – L'Institut Hospital del Mar d'Investigacions Mèdiques (IMIM-Hospital del Mar) posa en marxa un assaig clínic (Fase Ib) per validar la seguretat i tolerabilitat d'un **nou tractament per a la millora de la funció cognitiva en persones amb la síndrome de Down i avaluar preliminarment la seva eficàcia**. L'assaig s'inscriu dins el **projecte ICOD** (*Improving Cognition in Down Syndrome*) impulsat per la Unió Europea en el marc del [programa finançament d'I+D Horizon 2020](#), amb una subvenció de sis milions d'euros, i liderat per l'IMIM-Hospital del Mar. És el primer estudi que analitza la viabilitat d'un nou tipus d'abordatge en aquest camp.

Per portar-lo a terme, l'equip de l'IMIM-Hospital del Mar, liderat pel Dr. Rafael de la Torre, coordinador del projecte ICOD, reclutarà 45 persones d'entre 18 i 35 anys amb la síndrome de Down. Aquesta fase de l'estudi arriba després de superar les proves amb animals i amb voluntaris sense síndrome de Down, que han indicat la seguretat i tolerabilitat del tractament.

Nou abordatge

Aquest tractament es basa en la modulació del funcionament del sistema endocannabinoide del cervell. Segons diversos estudis, les persones amb la síndrome de Down presenten hiperactivitat del **receptor cannabinoide CB1**, i la seva modulació amb inhibidors específics millora de forma dràstica el rendiment cognitiu en models animals. Basant-se en aquest principi, l'empresa francesa Aelis Farma ha desenvolupat un innovador abordatge, a través d'una nova molècula, anomenada AF0217, la primera del seu tipus, que actua imitant un mecanisme de defensa natural del cervell per contrarestar la hiperactivitat d'aquest receptor.

El Dr. Rafael de la Torre ha apuntat que amb l'estudi que ara es posa en marxa **"no només demostrarem que el producte és segur i ben tolerat per persones amb la síndrome de Down, sinó que tenim eines per monitorar si el tractament té efectes positius en la cognició aquestes persones"**. Les anteriors fases de l'assaig clínic, que han estat aprovades per l'Agència Espanyola de Medicaments i Productes Sanitaris (AEMPS), han demostrat que la molècula desenvolupada és segura i es tolera bé, sense efectes secundaris d'importància. Això és **"d'especial importància per a l'acceptació del tractament per part de les famílies de les persones amb la síndrome de Down"**, afegeix.

Els voluntaris que participaran en l'estudi es dividiran entre els que prendran el medicament, una solució oral que es pren amb aigua, i els que rebran placebo. Tot ho faran durant 28 dies, temps durant el qual es farà el seguiment de la seva resposta al tractament. Abans d'iniciar-lo i al final,

Nota de premsa

se'ls hi faran proves de rendiment cognitiu i un encefalograma per poder tenir una primera visió de com el tractament afecta les seves habilitats cognitives.

Una vegada obtinguts els resultats d'aquesta fase del desenvolupament clínic, es plantejarà un nou estudi, aquesta vegada amb diversos centres d'arreu d'Europa i amb un major nombre de participants voluntaris, per confirmar els efectes de la nova molècula sobre el rendiment cognitiu de les persones amb la síndrome de Down (estudi en Fase II). La intenció de l'equip impulsor és posar-lo en marxa l'estiu de l'any que ve. L'objectiu final és aconseguir un tractament que millori la memòria de treball d'aquestes persones, un dèficit cognitiu clau en aquesta patologia. La memòria de treball és aquella referida al conjunt de processos que permeten l'emmagatzematge i la manipulació temporal de la informació per a la realització de tasques cognitives complexes, com ara la comprensió del llenguatge, la lectura, les habilitats matemàtiques, l'aprenentatge o el raonament. No es descarta que el mecanisme d'acció del nou tractament pugui ser útil en altres discapacitats intel·lectuals, com és el cas de la síndrome de la X-Fràgil, o altres malalties que provoquen deteriorament cognitiu com són les neurodegeneratives.

En relació amb l'inici de l'assaig clínic, el Dr. Joaquín Arribas, director de recerca del Parc de Salut Mar i director de l'IMIM-Hospital del Mar, ha volgut destacar que **"l'Institut Hospital del Mar d'Investigacions Mèdiques no és només un dels centres de recerca pioners de l'Estat, sinó que la seva aposta per la investigació de primera línia dona importants fruits. D'aquesta manera, només l'any 2021 es van portar a terme o es van iniciar 155 assajos clínics, sobretot en els camps de l'oncologia i la recerca clínica translacional. El que ara arrenca en persones amb la síndrome de Down ve a cobrir un camp en el qual no s'han registrat avenços en els últims anys, la qualitat de vida d'aquestes persones. A tot això cal sumar el recent anunci de l'Agència Europea del Medicament ha confiat en l'Hospital del Mar i l'IMIM per avaluar medicaments fent servir dades de la vida real"**.

Aquelles persones que vulguin tenir més informació sobre el projecte ICOD i l'assaig clínic, la trobaran a la pàgina web <https://www.imim.cat/estudis-clinics/17/assaig-clinic-en-persones-amb-sindrome-de-down-per-a-la-millora-de-les-funcions-cognitives>

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

Més informació

Servei de Comunicació IMIM/Hospital del Mar: Marta Calsina 93 3160680 mcalsina@imim.es, David Collantes 600402785 dcollantes@psmar.cat