

## Avances frente al síndrome X Frágil con el primer fármaco del mundo

LOCALIZACIÓN: Hospital Civil, Málaga.

DURACIÓN: 1'55"

**RESUMEN:** Tras quince años de trabajo, investigadores del Hospital Regional de Málaga y del Instituto de Investigación Biomédica de Málaga (IBIMA) han desarrollado un fármaco para tratar el síndrome X Frágil. La Agencia Europea del Medicamento ha otorgado el estatus de medicamento huérfano a este producto, con un 65% de eficacia en el ensayo clínico realizado.

### VTR:

Estas dos mujeres tienen algo en común. Las dos son madres de niños que tienen el síndrome X Frágil, y las dos han formado parte con sus hijos del ensayo clínico coordinado por investigadores del Hospital Regional de Málaga y que ha desembocado en el desarrollo de un fármaco para tratar esta enfermedad.

**Ana Pérez Cecilio**  
**Madre niño con**  
**Síndrome X Frágil**

*"Antes no te hablaba, y ahora te habla. Entonces puede mejorar un montón en ese sentido el medicamento. La verdad es que bien".*

**Ana Pérez Picón**  
**Madre niño con**  
**Síndrome X Frágil**

*"Les doy la enhorabuena porque realmente mi hijo, el cambio es increíble. Sobre todo a nivel del lenguaje, a nivel cognitivo, la hiperactividad que tiene".*

El síndrome X Frágil es una enfermedad rara hereditaria que ocasiona una discapacidad intelectual con un gran abanico de síntomas. El fármaco desarrollado presenta un 65 % de eficacia.

**Yolanda de Diego**  
**Coordinadora de la Investigación**

*"En la población de entre 6 y 18 años hay una mejoría significativa a nivel cognitivo, en lenguaje, y en comportamiento, lo que puede significar un avance importante porque estos pacientes hasta ahora no tenían una medicación efectiva o un tratamiento específico".*

El ensayo clínico se ha desarrollado con 100 pacientes de toda España. La Agencia Europea del Medicamento ha otorgado el estatus de medicamento huérfano a este producto. La prevalencia de esta enfermedad en hombres es de un caso cada dos mil quinientas personas, y en las mujeres de una entre cuatro mil.

**Lucía Pérez**  
**Responsable Ensayos clínicos**

*"Algo que hemos aprendido es que el síndrome X Frágil aparece en grandes familias, grandes familias que nos han ayudado muchísimo en nuestra investigación".*

**Ana Pérez Picón**  
**Madre niño con**  
**Síndrome X Frágil**

*"Y lo que supone no solo para mi familia, que es fundamental, sino para el resto de afectados".*

Estas investigadoras no se quedan aquí, y ya trabajan para poder seguir investigando y conseguir mejorar aún más los síntomas y el diagnóstico de estos pacientes. Una empresa será la encargada de comercializar el medicamento, que se espera esté disponible a finales de 2017.