



Nota de prensa

CONNECTA Therapeutics inicia un ensayo clínico de Fase IIa con CTH120, un modulador de la neuroplasticidad *first-in-class* para el síndrome X frágil

- *Después de los resultados positivos de seguridad obtenidos en la Fase I, este estudio con pacientes es un hito clave en la evolución de la compañía.*
- *CTH120 es un tratamiento potencialmente modificador del síndrome X frágil, una enfermedad rara sin tratamiento específico aprobado a día de hoy que afecta gravemente a la cognición y la conducta.*

Barcelona, 10 de junio de 2026 – CONNECTA Therapeutics, una empresa biotecnológica en fase clínica pionera en el desarrollo de moduladores de la neuroplasticidad *first-in-class* para abordar necesidades médicas no cubiertas en los trastornos del Sistema Nervioso Central (SNC), inicia un ensayo clínico de Fase IIa con su programa más avanzado, CTH120, en varones adultos con síndrome X frágil (SXF).

CTH120 es una molécula pequeña nueva que actúa sobre el receptor de tropomiosina quinasa B (TrkB), clave en la neuroplasticidad, es decir, la habilidad del cerebro para formar y adaptar conexiones neuronales. La alteración de la neuroplasticidad es una característica fisiopatológica fundamental de los trastornos del neurodesarrollo y contribuye a las manifestaciones clínicas observadas en condiciones como el SXF. El SXF es la causa hereditaria más común de discapacidad intelectual, con una prevalencia estimada de aproximadamente 3 de cada 10.000 individuos.

“Iniciar este estudio de Fase IIa representa un hito muy significativo para CONNECTA”, comenta **Jordi Fàbrega, cofundador y CEO de CONNECTA Therapeutics**. “Partiendo de los datos prometedores de seguridad de la Fase I, este ensayo se ha diseñado para evaluar la seguridad y la tolerabilidad de CTH120 y su beneficio terapéutico potencial mediante la modulación de vías implicadas en la disfunción neuronal en el SXF. Creemos que este estudio podrá contribuir al desarrollo de un nuevo tratamiento modificador del SXF y servirá como prueba de concepto de nuestra plataforma de modulación de la neuroplasticidad”.

El ensayo clínico de Fase IIa es un estudio multicéntrico (EU CT nr: 2025-522972-97-00), aleatorizado, doble ciego y de grupos paralelos, diseñado para evaluar CTH120 administrado dos veces al día en comparación con placebo. Inicialmente, incluirá a los pacientes más afectados por el SXF, habitualmente hombres adultos, debido a la naturaleza de esta condición ligada al cromosoma X. El objetivo principal es la evaluación de la seguridad y la tolerabilidad, y los objetivos secundarios incluyen la caracterización de la farmacocinética y la evaluación de la eficacia clínica. El ensayo aleatorizará a 30 varones adultos de 18 a 45 años para recibir CTH120 o placebo en una proporción 1:1. El éxito de este estudio supondrá un paso importante hacia fases más avanzadas del desarrollo clínico de CTH120.

“El SXF impacta de manera profunda en las funciones cognitivas y conductuales y afecta severamente a la calidad de vida de las personas que viven con esta condición y la de sus



familias. Sigue siendo una enfermedad con necesidades médicas no cubiertas significantes, sin tratamientos aprobados que la modifiquen" comenta el **Dr. Rafael de la Torre Fornell, Investigador Principal y coordinador del estudio en el Hospital del Mar Research Institute (HMRIB)**. "Este ensayo de Fase IIa es una oportunidad importante para evaluar un nuevo mecanismo de acción muy prometedor y avanzar en el conocimiento clínico de esta condición que acompaña a los pacientes a lo largo de su vida", añade.

El ensayo de Fase IIa de CTH120 se llevará a cabo en el HMRIB en Barcelona y el Instituto de Investigación e Innovación Fundación Parc Taulí (I3PT) en Sabadell, dos centros con amplia experiencia en SXF y trastornos del neurodesarrollo. El estudio está liderado por el Dr. Rafael de la Torre Fornell junto con la Dra. Ana Aldea Perona (HMRIB) y la Dra. Ana Roche Martínez (I3PT). Bajo el liderazgo de la Dra. Mara Dierssen, en el Centro de Regulación Genómica (CRG), el ensayo clínico también contribuirá al avance en la identificación de biomarcadores específicos vinculados a la neurobiología del SXF y la evaluación de la respuesta al tratamiento.

El estudio ha sido autorizado por la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS), con la aprobación de comités de ética de relevancia, y está financiado por el Ministerio Español de Ciencia, Innovación y Universidades y el programa de la Unión Europea, NextGenerationEU (Referencia del proyecto: CPP2022-009659).

Para más información o entrevistas, contactar con:

Gemma Escarré Comms

Tel. +34 667 76 15 24

connecta@gemmaescarre.com

Sobre CONNECTA Therapeutics

CONNECTA Therapeutics es una empresa biotecnológica en fase clínica que dispone de una plataforma de moléculas pequeñas con actividad moduladora de la neuroplasticidad para abordar necesidades médicas no cubiertas en trastornos del Sistema Nervioso Central (SNC), con un enfoque especial en las enfermedades del neurodesarrollo pediátrico. La neuroplasticidad es la capacidad del SNC para adaptar su actividad en respuesta a estímulos intrínsecos o extrínsecos mediante la reorganización de su estructura, funciones y conexiones, y se encuentra alterada en la mayoría de estos trastornos.

El programa más avanzado de la compañía, CTH120, es un potencial tratamiento modificador del síndrome X frágil (SXF), una enfermedad rara del neurodesarrollo que afecta gravemente a la cognición y al comportamiento y para la que actualmente no existe ningún tratamiento específico. CTH120 es una nueva molécula pequeña que actúa sobre el receptor tropomiosina quinasa B (TrkB), un regulador clave del desarrollo y funcionamiento cerebral. A diferencia de los tratamientos sintomáticos disponibles, CTH120 tiene como objetivo restaurar la arquitectura neuronal subyacente. Tras obtener resultados preclínicos sólidos y demostrar un perfil de seguridad favorable en fase I ([NCT06480968](#)), CONNECTA ha iniciado un ensayo clínico de Fase IIa con CTH120 en varones adultos y está impulsando el programa pediátrico con el apoyo del proyecto FRAXCURE (cofinanciado por la Unión Europea, GA101217931).



CONNECTA dispone además de una plataforma escalable de moduladores de la neuroplasticidad que ha permitido identificar otros compuestos prometedores con potencial para el tratamiento de múltiples trastornos del SNC. Los modelos preclínicos han demostrado eficacia en el síndrome X frágil y en el síndrome de Rett, con potencial para abordar otras indicaciones como el síndrome de Down, el síndrome de DiGeorge, el trastorno del espectro autista (TEA) y el trastorno por déficit de atención e hiperactividad (TDAH). Más información en: www.connectatherapeutics.com

Sobre el Centro de Regulación Genómica (CRG)

El Centro de Regulación Genómica (CRG) es un reconocido centro internacional de investigación biomédica con sede en Barcelona. Su misión es generar y promover conocimiento para beneficiar a la sociedad, la salud pública y la prosperidad económica. El centro cuenta con más de 400 científicos interdisciplinarios dedicados a comprender la complejidad de la vida, desde el genoma hasta la célula y el organismo en su conjunto. El CRG forma parte del Barcelona Institute of Science and Technology (BIST) y es un centro CERCA de la Generalitat de Catalunya. Más información en: www.crg.eu

Sobre el Hospital del Mar Research Institute (HMRIB)

El Hospital del Mar Research Institute (HMRIB) es un centro de investigación en biomedicina y ciencias de la salud estructurado en seis grandes programas: cáncer, epidemiología y salud pública, informática biomédica, neurociencias, investigación clínica traslacional y terapias avanzadas. Con cerca de 700 profesionales, se sitúa entre las diez instituciones españolas con mayor impacto científico en el ámbito de la salud. Es un centro CERCA de la Generalitat de Catalunya y está acreditado por el Instituto de Salud Carlos III. Con más de 75 años de historia, es el centro público de investigación en activo más antiguo de España. Más información en: www.researchmar.net

Sobre el Instituto de Investigación e Innovación Parc Taulí (I3PT)

El Instituto de Investigación e Innovación Parc Taulí (I3PT) promueve la investigación, la innovación y la docencia en el ámbito de la salud con el objetivo de impulsar la transferencia de conocimiento y generar valor que contribuya al crecimiento social y económico. El Instituto es reconocido en el ecosistema de I+D por su trayectoria en la promoción e implantación de un modelo propio de innovación que combina los resultados de la investigación con las necesidades clínicas del Parc Taulí. Este enfoque ha permitido desarrollar soluciones a medida e incorporarlas tanto al sistema sanitario como al mercado mediante colaboraciones con actores clave del ecosistema. El I3PT es un instituto acreditado por el Instituto de Salud Carlos III. Más información en: www.tauli.cat/institut/