

El estudio comienza este próximo mes de abril en el Hospital público de La Princesa de la capital

La Comunidad de Madrid inicia un novedoso ensayo clínico que abre la puerta a terapias pioneras frente a la ELA

- Participarán 72 voluntarios sanos para evaluar la seguridad de un nuevo medicamento, y en una segunda fase continuará con pacientes afectados por la enfermedad
- El fármaco pretende restaurar la función de la proteína que provoca la muerte de las motoneuronas y la nueva molécula podría frenar el avance de la Esclerosis Lateral Amiotrófica

19 de marzo de 2026.- La Comunidad de Madrid inicia este próximo mes de abril un novedoso ensayo clínico en el Instituto de Investigación Sanitaria del Hospital público de La Princesa que abre la puerta al desarrollo de nuevas terapias frente a la Esclerosis Lateral Amiotrófica (ELA). Está previsto que la investigación continúe en enero del próximo año, en una segunda fase ya con pacientes afectados por la enfermedad.

La Unidad de Ensayos Clínicos del centro madrileño llevará a cabo este estudio con el fármaco AP-2, potencial medicamento para la ELA. Supondrá la primera administración en humanos (*Firts in Human*) y ha sido autorizado recientemente por la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS), tras superar la fase preclínica en el Consejo Superior de Investigaciones Científicas (CSIC).

Está prevista la participación de 72 voluntarios sanos a los que se les administrará el fármaco para evaluar su seguridad y la farmacocinética, es decir, cómo se absorbe, distribuye, metaboliza y elimina del organismo. AP-2 pretende restaurar la función de TDP-43, una proteína patológicamente alterada en los pacientes de ELA que provoca la muerte de las motoneuronas (células del sistema nervioso encargadas de transmitir señales desde el cerebro o la médula espinal hasta los músculos) y, consiguientemente, el avance de la enfermedad. Hasta ahora ha logrado revertir la anomalía de TDP-43, restaurando así su equilibrio natural, tanto en modelos celulares como en animales transgénicos.

Este tipo de ensayo se basa en una administración progresiva del medicamento en distintos niveles de dosis. Cada escalado se realiza únicamente tras confirmar la seguridad en la cohorte de pacientes previa, garantizando así la protección de

los participantes y permitiendo establecer las bases de seguridad necesarias para su futura evaluación en enfermos con ELA.

ENTRE 4.000 Y 4.500 PERSONAS AFECTADAS EN ESPAÑA

La Esclerosis Lateral Amiotrófica (ELA) es una enfermedad neurodegenerativa progresiva que afecta a las motoneuronas, las células nerviosas responsables de controlar los músculos voluntarios, provocando una pérdida gradual de la fuerza muscular que deriva en parálisis, mientras las capacidades cognitivas suelen mantenerse intactas.

Se trata de una patología incurable y de evolución rápida, con una esperanza de vida media de entre cinco y seis años tras el diagnóstico. Según datos de la Sociedad Española de Neurología (SEN), entre 4.000 y 4.500 personas la padecen en España, y cada año se diagnostican entre 900 y 1.000 nuevos casos.

DE LA INVESTIGACIÓN BÁSICA A LA APLICACIÓN CLÍNICA

El desarrollo de este estudio es una referencia en el proceso de la transición de la investigación básica a la aplicación clínica, consolidando su capacidad para liderar análisis complejos en fases iniciales. Más allá de la evaluación de seguridad, permitirá determinar las dosis adecuadas y abre la puerta a analizar, en fases posteriores, si la molécula puede contribuir a frenar la progresión de la enfermedad, lo que supondría un avance significativo en la búsqueda de soluciones a esta patología.

El inicio de este ensayo refuerza el compromiso de la sanidad pública madrileña con la innovación biomédica, la excelencia investigadora y el desarrollo de terapias avanzadas, situando a sus centros hospitalarios públicos como el de La Princesa en la vanguardia de la investigación clínica en España, y especialmente en el ámbito de los *First in Human*.