

La investigación sobre la proteína TDP-43 abre nuevas vías terapéuticas frente a la ELA

- La biotecnología está impulsando nuevas estrategias frente a la ELA, entre ellas el estudio de la proteína TDP-43, una diana clave implicada en la mayoría de los casos de la enfermedad.
- Molefy Pharma, compañía socia de AseBio, desarrolla AP-2, una terapia experimental para la ELA dirigida a restaurar la función de la proteína TDP-43. La compañía ya cuenta con la designación de medicamento huérfano de la EMA y la autorización para iniciar ensayos clínicos en humanos de la AEMPS.
- "La ELA hoy se puede definir como una TDP-43-patia, es decir como una enfermedad de la proteína TDP-43", señala el CEO de Molefy Pharma, Alfonso de Egaña Barrenechea.

Domingo 21 de junio de 2026, Madrid, España. – La esclerosis lateral amiotrófica (ELA) es una enfermedad neurodegenerativa progresiva que afecta a las motoneuronas, las células nerviosas responsables de controlar el movimiento muscular voluntario. Su avance provoca una **pérdida progresiva de la movilidad, el habla, la deglución y la capacidad respiratoria**, mientras que, en la mayoría de los casos, **las capacidades cognitivas permanecen preservadas**.

Con motivo del Día Mundial de la ELA, que se celebra este 21 de junio, desde la [Asociación Española de Bioempresas \(AseBio\)](#) ponemos el foco en una patología para la que siguen existiendo importantes necesidades médicas no cubiertas. En España conviven actualmente entre 4.000 y 4.500 personas con ELA y cada año se diagnostican alrededor de 900 nuevos casos, lo que equivale a cerca de tres diagnósticos diarios. Además, la enfermedad presenta una **elevada mortalidad**: cada día fallecen aproximadamente tres personas a causa de esta patología. La



supervivencia media suele situarse entre los dos y los cinco años desde el diagnóstico, aunque existe una gran variabilidad entre pacientes.

A pesar de los avances logrados en el conocimiento de la enfermedad, **las opciones terapéuticas continúan siendo limitadas y no existe todavía una cura capaz de detener o revertir su progresión.** El diagnóstico sigue siendo complejo y puede retrasarse más de un año desde la aparición de los primeros síntomas, lo que dificulta el acceso temprano a cuidados especializados y a posibles ensayos clínicos.

En este contexto, la **biotecnología** está impulsando nuevas aproximaciones para abordar las causas moleculares de la enfermedad. Una de las líneas de investigación más prometedoras se centra en la **proteína TDP-43**, cuya alteración está presente en la mayoría de los pacientes con ELA y desempeña un papel clave en la degeneración neuronal. [Molefy Pharma](#), compañía socia de AseBio, desarrolla **AP-2**, una **molécula innovadora para la ELA orientada a restaurar la función de TDP-43.** Tras obtener la **designación de medicamento huérfano de la Agencia Europea del Medicamento** y la **autorización de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios para iniciar ensayos clínicos en humanos**, conversamos con su CEO, **Alfonso de Egaña Barrenechea**, sobre los avances y retos en la investigación de esta enfermedad.

Según explica, **la investigación en ELA vive en la actualidad un momento especialmente prometedor** gracias al creciente impulso de la comunidad científica, las asociaciones de pacientes y el sector biotecnológico. Sin embargo, subraya que **persisten importantes necesidades médicas no cubiertas.** No obstante, destaca que **todavía no existen tratamientos farmacológicos capaces de retrasar de forma significativa o detener la progresión de la enfermedad**, por lo que considera imprescindible seguir impulsando el desarrollo de nuevas estrategias terapéuticas que mejoren el pronóstico y la calidad de vida de los pacientes.

Junto al avance de la investigación, el CEO de Molefy Pharma señala la importancia de **reforzar la atención integral a las personas afectadas.** En este sentido, **considera prioritaria la implantación de unidades específicas de ELA en todos los centros hospitalarios de referencia**, integradas por equipos multidisciplinares capaces de abordar de forma coordinada las distintas necesidades de los pacientes y sus familias.



Asimismo, insiste en la **necesidad de mantener una inversión sostenida en investigación que permita desarrollar proyectos de largo recorrido, especialmente aquellos orientados al descubrimiento de nuevos tratamientos.**

TDP-43, una de las principales dianas terapéuticas

Uno de los ámbitos que concentra actualmente mayor interés científico es el estudio de la **proteína TDP-43**. Según explica De Egaña, esta proteína desempeña un **papel esencial en el funcionamiento de las células del sistema nervioso y presenta alteraciones en más del 97% de los casos de ELA.**

"La ELA hoy se puede definir como una **TDP-43-patia**, es decir como una **enfermedad de la proteína TDP-43**", señala. La formación de agregados tóxicos y la pérdida de función de esta proteína alteran procesos celulares fundamentales y contribuyen a la muerte neuronal característica de la enfermedad.

A partir de esta evidencia, Molefy Pharma trabaja en el desarrollo de **AP-2, una molécula diseñada para restaurar la función de TDP-43**. Los estudios realizados hasta el momento muestran una **reducción de los agregados patológicos** y una **recuperación de la función normal de la proteína en modelos preclínicos**. "Si los efectos observados en modelos celulares y animales se reprodujeran en humanos, **AP-2 podría constituir un tratamiento capaz de modificar el curso de la enfermedad**", explica el CEO de la compañía.

La reciente autorización para iniciar ensayos clínicos en humanos representa, en este contexto, un paso decisivo para evaluar la seguridad y eficacia de esta aproximación terapéutica en pacientes con ELA esporádica.

Biotecnología, medicina de precisión y biomarcadores

De cara a los próximos años, Molefy Pharma prevé que el abordaje de la ELA evolucione hacia **estrategias terapéuticas cada vez más complejas y personalizadas**. Entre ellas, destaca la combinación de diferentes fármacos con mecanismos de





acción complementarios, el desarrollo de tratamientos multidiana y el avance de la medicina de precisión.

La compañía también pone el foco en el **desarrollo de biomarcadores y tecnologías ómicas**, herramientas que permitirán realizar diagnósticos más tempranos, mejorar la selección de pacientes y optimizar el diseño de los ensayos clínicos.

Pese a las incertidumbres que todavía rodean a la enfermedad, **Molefy Pharma afronta el futuro con optimismo** y confía en que los avances en investigación básica, descubrimiento de fármacos y desarrollo de biomarcadores contribuyan a una mejor comprensión de la ELA y al desarrollo de tratamientos más eficaces que permitan mejorar tanto la calidad como la esperanza de vida de los pacientes.

Sobre la Asociación Española de Bioempresas (AseBio)

La Asociación Española de Bioempresas (AseBio) agrupa a 350 entidades y representa al conjunto del sector biotecnológico español. Su misión es liderar la transformación del país, posicionando la ciencia, innovación y en especial la biotecnología como motor de crecimiento económico y bienestar social. Entre sus socios destacan empresas, asociaciones, fundaciones, universidades, centros tecnológicos y de investigación que desarrollan sus actividades de manera directa o indirecta en relación con la biotecnología en España.

<https://www.asebio.com/>

CONTACTO DE PRENSA

Ángel Luis Jiménez

Director de Comunicación

662 172 126

ajimenez@asebio.com

