

Atlas Molecular Pharma anuncia la administración de ATL-001 a los tres primeros pacientes con Porfiria Eritropoyética Congénita

El 19 de octubre de 2026, los primeros pacientes del ensayo clínico de Fase I-II ATL001-PII-CEP recibieron su primera dosis y seguirán con una dosis oral diaria durante los próximos meses.

Derio (Bizkaia), 20 de octubre de 2026

El 19 de octubre de 2026, los tres primeros pacientes con Porfiria Eritropoyética Congénita (PEC) incluidos en el ensayo clínico ATL001-PII-CEP recibieron su primera dosis de ATL-001, el medicamento oral en investigación de Atlas Molecular Pharma para la PEC. Es la primera vez que ATL-001 se administra a personas con esta enfermedad ultrarrara y grave, para la que no existe ningún medicamento aprobado específicamente para su tratamiento.

Los tres pacientes empezaron a recibir el tratamiento después de completar la fase inicial de observación (*historia natural*). Durante los próximos meses, estos pacientes continuarán tomando una dosis diaria de la solución oral de ATL-001.

“La administración de la primera dosis de ATL-001 a estos tres pacientes es un momento muy importante para todo el equipo de Atlas y un paso relevante para la investigación en PEC. Llevamos años trabajando para llegar hasta aquí y queremos dar las gracias a los pacientes y a sus familias por su confianza y su compromiso, que hacen posible que este estudio avance. Continuaremos trabajando con rigor, prudencia y transparencia.” — Susana Castel, CEO de Atlas Molecular Pharma

El ensayo

ATL001-PII-CEP es un ensayo de Fase I-II, abierto, prospectivo y de diseño N-of-1 (cada paciente se evalúa de forma individual). Estudiará la seguridad y la eficacia de ATL-001 en personas adultas con PEC. Está previsto que participen aproximadamente seis pacientes, que tomarán el tratamiento a diario durante alrededor de 48 semanas.

ATL-001 completó en 2024 un ensayo de Fase I en voluntarios sanos para evaluar su seguridad, tolerabilidad y farmacocinética. En este ensayo Fase I-II se comprobará si el tratamiento es seguro y se tolera bien en pacientes con PEC.

El estudio evaluará, además, la evolución de las lesiones cutáneas asociadas a la fotosensibilidad, otros signos y síntomas clínicos, parámetros analíticos y la calidad de vida de los participantes.

Este ensayo clínico se está realizando en hospitales de Estados Unidos, con la participación de investigadores de referencia internacional en PEC: el Dr. Robert Desnick, investigador principal en el Icahn School of Medicine at Mount Sinai (Nueva York), la Dra. Angelika Erwin, en Cleveland Clinic (Ohio), y la Dra. Hetanshi Naik, en Stanford University School of Medicine.

La Porfiria Eritropoyética Congénita y ATL-001

La Porfiria Eritropoyética Congénita (PEC) es una enfermedad genética ultrarrara, grave y altamente debilitante, para la que actualmente no existen fármacos específicamente aprobados. Está causada por una actividad deficiente de la enzima uroporfirinógeno III sintasa (UROS), esencial en la biosíntesis del grupo hemo. Esta alteración provoca la

acumulación de porfirinas y puede causar anemia, lesiones cutáneas graves, dolor y una extrema sensibilidad a la luz solar.

ATL-001 es una chaperona farmacológica diseñada para estabilizar la enzima UROS alterada y aumentar su actividad funcional, con el objetivo de reducir la acumulación de porfirinas y, potencialmente, las manifestaciones clínicas asociadas a la enfermedad. ATL-001 es actualmente el único candidato farmacológico en desarrollo clínico específicamente para PEC.

Apoyo regulatorio

ATL-001 cuenta con la designación de medicamento huérfano en Europa (OMP) y en Estados Unidos (ODD) desde 2018. En 2025, la Food and Drug Administration (FDA) le concedió la designación Fast Track y lo incluyó en su programa piloto Rare Disease Endpoint Advancement (RDEA).

Además, el Dr. Robert Desnick es el investigador principal de la subvención de 2,5 millones de dólares que la Office of Orphan Products Development (OOPD) de la FDA ha concedido a los hospitales participantes para financiar el desarrollo clínico de Fase II de ATL001-P11-CEP.

Sobre Atlas Molecular Pharma

Atlas Molecular Pharma es una compañía biotecnológica *spin-off* de CIC bioGUNE, con sede en el Parque Científico y Tecnológico de Bizkaia, dedicada al desarrollo de terapias para enfermedades raras y ultrarraras. Su cartera incluye programas basados en chaperonas farmacológicas y otras aproximaciones terapéuticas para enfermedades raras y ultrarraras. Atlas trabaja bajo un modelo de innovación abierta, en colaboración con centros académicos y empresas del sector, y cuenta con el respaldo de socios e inversores como Inveready, CDTI, Ezten FCR y Kereon Partners, entre otros.

www.atlasmolecularpharma.com

Contacto

Susana Castel, CEO – scastel@atlasmolecularpharma.com

Oscar Millet, Fundador y CSO – oscar@atlasmolecularpharma.com