

Ferrer y Prilenia anuncian la inclusión del primer participante en el ensayo clínico de fase 3 “PREVAiLS” con pridopidina, en ELA

PREVAiLS es un estudio pivotal, global, de fase 3 con 500 participantes, diseñado para evaluar la eficacia y seguridad de la pridopidina, un fármaco en investigación, en la ralentización de la progresión de la ELA (ALSFRS-R) en pacientes en fases iniciales y de progresión rápida

--

El diseño de este estudio pivotal, potencialmente registral, se basa en los datos de análisis de subgrupos del programa de fase 2 en una población de pacientes con progresión rápida y similar; y busca confirmarlosⁱ

--

PREVAiLS, que se considera actualmente el único estudio de fase 3 en ELA en proceso de reclutamiento, se llevará a cabo en hasta 60 centros líderes en el tratamiento de la ELA en 13 países. Once centros ya han sido iniciados, o lo serán de forma inminente, y se espera que el reclutamiento en otros centros de Estados Unidos, Canadá, la Unión Europea, el Reino Unido e Israel comience en las próximas semanas y meses

BARCELONA, España, NAARDEN, Países Bajos y WALTHAM, Massachussets- 30 de Marzo de 2026 - Ferrer y Prilenia Therapeutics B.V.¹ han anunciado hoy la inclusión del primer participante en el PREVAiLS, un estudio pivotal de fase 3, aleatorizado, controlado con placebo y de alcance global con 500 participantes, diseñado para evaluar la pridopidina en personas con Esclerosis Lateral Amiotrófica (ELA) temprana de progresión rápida (“PREVAiLS”, [NCT07322003](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT07322003)).

El primer participante fue incluido en el Mass General Brigham (MGB), bajo la supervisión de la **Dra. Sabrina Paganoni**, codirectora del MGH Neurological Clinical Research Institute e investigadora principal del PREVAiLS, que declaró:

“La pridopidina es un activador del receptor sigma-1 (S1R). Se ha demostrado que el S1R desempeña un papel en la estimulación de múltiples vías neuroprotectoras que se ven alteradas en enfermedades neurodegenerativas como la ELA y la enfermedad de Huntington (EH)ⁱⁱ. La inclusión del primer participante en este estudio confirmatorio supone un hito en la búsqueda de nuevas opciones terapéuticas que puedan ayudar a ralentizar la progresión de la enfermedad, preservar la función, mantener el habla y prolongar la supervivencia, objetivos clave en el tratamiento temprano de la ELA.”

¹ En abril de 2025, Prilenia y Ferrer firmaron un acuerdo de comercialización y codesarrollo para pridopidina: <https://www.ferrer.com/es/Ferrer-firma-una-colaboracion-y-acuerdo-de-licencia-con-Prilenia-para-la-comercializacion-y-codesarrollo-de-pridopidina>

Por su parte, **Oscar Pérez**, Chief Scientific Officer de Ferrer, destacó: “El inicio del ensayo PREVAiLS supone un paso muy relevante en nuestro propósito de ofrecer soluciones transformadoras para personas que viven con enfermedades raras y severas, especialmente aquellas con una alta necesidad médica no cubierta. En Ferrer trabajamos cada día con un profundo compromiso hacia los pacientes y sus familias, y colaborar con Prilenia en este estudio clínico representa una oportunidad para contribuir de forma responsable al avance de la investigación en ELA.”

PREVAiLS se fundamenta en [datos revisados por pares y publicados](#) procedentes de un análisis de subgrupos de participantes con ELA de progresión rápida en fases iniciales (pridopidina: n = 37; placebo compartido: n = 35), del ensayo de fase 2 HEALEY ALS Platform, aleatorizado, doble ciego y controlado con placebo. El ensayo HEALEY no alcanzó sus objetivos primarios ni secundarios en la población global; los análisis preespecificados y adicionales mostraron efectos en pacientes de progresión rápida que se pretende confirmar en PREVAiLS.

El **Prof. Dr. Leonard van den Berg**, presidente de The European Research Initiative to find a Cure for ALS (TRICALS), profesor de Neurología en el University Medical Centre Utrecht y miembro europeo del Steering Committee de PREVAiLS, declara: “El estudio PREVAiLS representa un compromiso compartido con el avance de una investigación clínica rigurosa. Haber estado estrechamente involucrado en las fases de preparación y puesta en marcha hace que resulte especialmente gratificante ver el estudio oficialmente en marcha. Esperamos con interés la continuación de la ejecución global del estudio PREVAiLS.”

Dra. Mónica Povedano, coordinadora de la Unidad Funcional de Enfermedades de la Motoneurona y jefa de la Sección de Neurofisiología, Servicio de Neurología, del Hospital Universitario de Bellvitge-IDIBELL, “PREVAiLS es una muestra del compromiso y la colaboración que Ferrer y Prilenia mantienen para avanzar en la investigación de nuevos tratamientos que puedan modificar el curso de la ELA. Además, gracias al rigor científico aportado por TRICALS, el estudio refuerza el liderazgo internacional de Cataluña en investigación clínica e innovación en enfermedades neurodegenerativas minoritarias.”

El estudio PREVAiLS se llevará a cabo en hasta 60 centros líderes en el tratamiento de la ELA en 13 países a nivel mundial. Once centros ya han sido iniciados, o lo serán de forma inminente, y se prevé que la inclusión de participantes en otros centros de Estados Unidos, Canadá, la Unión Europea, el Reino Unido e Israel comience en las próximas semanas y meses.

Fernando Martín Pérez, presidente de la Confederación Nacional de Entidades de ELA (ConELA) añade: “ConELA valora el inicio de PREVAiLS en Europa y España: rigor, transparencia y comunicación responsable, sin expectativas infundadas, poniendo a las personas en el centro.”

Se puede encontrar más información sobre PREVAiLS en [ClinicalTrials.gov \(NCT07322003\)](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT07322003) / Número de ensayo clínico en la UE: 2025-524002-16-00.

[Esta nota de prensa tiene fines exclusivamente informativos. Pridopidina es un medicamento en investigación y no está aprobado para uso comercial por ninguna autoridad reguladora. No se ha establecido su seguridad ni eficacia. La información aquí contenida no constituye asesoramiento médico. Los pacientes deben consultar a su profesional sanitario para orientación sobre diagnóstico u opciones de tratamiento. Las normativas locales pueden variar; este comunicado no pretende promocionar ni publicitar ningún producto.]

Sobre PREVAiLS (Pridopidine Phase 3 Study to Evaluate Efficacy and Safety in ALS)

PREVAiLS es un estudio aleatorizado (3:2 pridopidina:placebo), controlado con placebo, de 48 semanas de duración, seguido de una fase de extensión abierta de 48 semanas. El estudio busca incluir a participantes con diagnóstico de ELA definitivo o probable (criterios de El Escorial) y con menos de 18 meses desde el inicio de los síntomas. El objetivo primario es el cambio desde el inicio en la escala ALSFRS-R ajustada por mortalidad a las 48 semanas. Los objetivos secundarios y exploratorios incluyen supervivencia y medidas de habla, función respiratoria, función bulbar y calidad de vida, así como resultados comunicados por los pacientes y biomarcadores plasmáticosⁱⁱⁱ.

Más detalles sobre PREVAiLS en [ClinicalTrials.Gov \(NCT07322003\)](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT07322003) / EU CT Number: 2025-524002-16-00.

Sobre pridopidina

La pridopidina (45 mg dos veces al día) es un agonista selectivo, oral, en investigación, del receptor sigma-1 (S1R). Se ha demostrado que el S1R desempeña un papel en la estimulación de múltiples vías neuroprotectoras alteradas en enfermedades neurodegenerativas como la ELA y la EH. En los estudios clínicos realizados hasta la fecha, ha mostrado un perfil de seguridad y tolerabilidad favorable, con datos de más de 1.600 personas (principalmente de estudios en EH), algunas de las cuales han recibido tratamiento activo durante hasta siete años^{iv}.

Además de la ELA, Prilenia y Ferrer planean iniciar un estudio pivotal de fase 3 potencialmente registral en EH. Se espera que el reclutamiento comience en la primera mitad de 2026.

La pridopidina cuenta con la designación de medicamento huérfano para EH y ELA en EE. UU. y la UE, y con la designación de vía rápida (Fast Track) de la FDA para el tratamiento de la EH.

La pridopidina es un medicamento en investigación no aprobado por ninguna autoridad reguladora. Su papel en la ELA y otras enfermedades neurológicas está actualmente en investigación clínica.

Sobre la ELA

La Esclerosis Lateral Amiotrófica (ELA), también conocida como enfermedad de Lou Gehrig o enfermedad de la motoneurona (EMN), es una enfermedad neurodegenerativa progresiva, lo que significa que es una afección crónica que empeora con el tiempo a medida que se produce daño en partes del sistema nervioso^v. Afecta a un tipo específico de neuronas, las motoneuronas del cerebro y la médula espinal, y conduce a una pérdida gradual de la función muscular que finalmente resulta en parálisis y muerte^{vi}. La ELA afecta a unas 500.000 personas en todo el mundo^{vii}, y es más frecuente en hombres que en mujeres^{viii}. La supervivencia media es de 2 a 5 años^{ix}. La causa exacta de la ELA no se conoce completamente, pero se cree que es una combinación de factores genéticos y ambientales.

La ELA suele aparecer entre los 40 y los 70 años^x y presenta una variedad de síntomas, como debilidad y atrofia muscular, problemas de movilidad como falta de coordinación y equilibrio, espasmos musculares, dificultad para hablar con claridad (disartria), problemas para tragar (disfagia), fatiga y cambios emocionales y cognitivos^{xi}. Los síntomas empeoran con el tiempo y afectan significativamente la calidad de vida de los pacientes y sus familias al dificultar la realización independiente de las actividades diarias. Las opciones de tratamiento actuales son limitadas.

La disfunción del S1R se ha asociado a múltiples formas de ELA, y mantener su funcionalidad puede ser clave para proteger la función neuronal.

Sobre Ferrer

En Ferrer utilizamos nuestro negocio para luchar por la justicia social. Somos una compañía que lleva años buscando hacer las cosas de manera diferente; en lugar de maximizar el retorno de los accionistas, devolvemos gran parte de nuestros beneficios a la sociedad y los destinamos allí donde verdaderamente hacen falta. Vamos más allá del cumplimiento y nos regimos por los más altos estándares de sostenibilidad, ética e integridad. Por eso, desde 2022 somos una empresa B Corp.

Ferrer se fundó en 1959 y actualmente ofrecemos soluciones transformadoras para hacer frente a patologías graves y debilitantes en más de cien países. En línea con nuestro propósito, tenemos un creciente enfoque en las enfermedades pulmonares vasculares e intersticiales y los trastornos neurológicos. Y a nuestro equipo de 1.800 personas les mueve una clara convicción: el negocio no es un fin en sí mismo, sino un medio para cambiar vidas.

Somos Ferrer. Ferrer for good. www.ferrer.com

Sobre Prilenia

Prilenia es una empresa biofarmacéutica privada impulsada por un firme compromiso con la excelencia científica y con acelerar el progreso para las personas afectadas por la enfermedad

de Huntington y la esclerosis lateral amiotrófica. Nuestra misión es simple pero urgente: desarrollar y proporcionar un acceso sostenible a medicamentos transformadores para personas afectadas por enfermedades neurodegenerativas devastadoras.

Prilenia se ha asociado con Ferrer para la comercialización y el codesarrollo de la pridopidina. La compañía está constituida legalmente en los Países Bajos y cuenta con el respaldo de inversores líderes en el sector de las ciencias de la vida.

Para más información, visita www.prilenia.com y conecta con nosotros en LinkedIn o X (Twitter).

Contacto:

Ferrer Contact

Alba Soler, Director of Communication

asolerc@ferrer.com

ⁱ Geva, M., Goldberg, Y. P., Leitner, M. L., Cruz-Herranz, A., Hand, R., Chen, K., ... Hayden, M. R. (2025). Pridopidine treatment in ALS: subgroup analyses from the HEALEY ALS Platform trial. *Amyotrophic Lateral Sclerosis and Frontotemporal Degeneration*, 1–13. <https://doi.org/10.1080/21678421.2025.2597935>

ⁱⁱ Lachance V, Bélanger S-M, Hay C, Le Corvec V, Banouvang V, Lapalme M, Tarmoun K, Beaucaire G, Lussier MP, Kourrich S. Overview of Sigma-1R Subcellular Specific Biological Functions and Role in Neuroprotection. *International Journal of Molecular Sciences*. 2023; 24(3):1971. <https://doi.org/10.3390/ijms24031971>

ⁱⁱⁱ van den Berg L, et al. A planned Phase 3, randomized, double-blind, placebo-controlled study to evaluate the efficacy and safety of pridopidine in participants with ALS
36th International Symposium on ALS/MND, San Diego, CA, USA, December 2025

^{iv} Goldberg YP, Navon-Perry L, Cruz-Herranz A, Chen K, Hecker-Barth G, Spiegel K, Cohen Y, Niethammer M, Tan AM, Schuring H, Geva M, Hayden MR. The Safety Profile of Pridopidine, a Novel Sigma-1 Receptor Agonist for the Treatment of Huntington's Disease. *CNS Drugs*. 2025 May;39(5):485-498. doi: 10.1007/s40263-025-01171-x. Epub 2025 Mar 7. PMID: 40055280; PMCID: PMC11982116.

^v <https://www.mayoclinic.org/diseases-conditions/amyotrophic-lateral-sclerosis/symptoms-causes/syc-20354022#:~:text=ALS%2C%20is%20a%20nervous%20system,disease%20gets%20worse%20over%20time.>

^{vi} Goutman SA, Hardiman O, Al-Chalabi A, et al. Recent advances in the diagnosis and prognosis of amyotrophic lateral sclerosis. *Lancet Neurol*. 2022;21(5):480-493. doi: 10.1016/S1474-4422(21)00465-8.

^{vii} Xu L, Liu T, Liu L, et al. Global variation in prevalence and incidence of amyotrophic lateral sclerosis: a systematic review and meta-analysis. *J Neurol*. Apr 2020;267(4):944–953. doi:10.1007/s00415-019-09652-y

^{viii} Masrori P, Van Damme P. Amyotrophic lateral sclerosis: a clinical review. *Eur J Neurol*. 2020;27(10):1918-1929. doi:10.1111/ene.14393

^{ix} Goutman SA, Hardiman O, Al-Chalabi A, et al. Recent advances in the diagnosis and prognosis of amyotrophic lateral sclerosis. *Lancet Neurol*. 2022;21(5):480-493. doi: 10.1016/S1474-4422(21)00465-8.

^x <https://www.als.org/understanding-als/who-gets-als>

^{xi} Muscular Dystrophy Association. Amyotrophic Lateral Sclerosis (ALS). Signs and Symptoms [Internet]. MDA [Accessed October 18th, 2024]. Available from: <https://www.mda.org/disease/amyotrophic-lateral-sclerosis/signs-and-symptoms>