

ORYZON anuncia la aprobación por la FDA del IND para PORTICO, un ensayo clínico de Fase IIb con vafidemstat en Trastorno Límite de la Personalidad

- ❖ **El estudio ya está activo en España**
- ❖ **Objetivos primarios: evaluar el efecto de vafidemstat para tratar la agitación y la agresividad y mejorar la enfermedad de forma global**

MADRID, ESPAÑA y CAMBRIDGE, EEUU, 15 de Junio de 2021 – Oryzon Genomics, S.A., compañía biofarmacéutica de fase clínica centrada en la epigenética para el desarrollo de terapias en enfermedades con importantes necesidades médicas no resueltas, ha anunciado hoy que ha recibido la confirmación de la *U.S. Food and Drug Administration* (FDA) de la concesión de autorización del IND (*Investigational New Drug application*) para realizar un estudio clínico de Fase IIb con vafidemstat en pacientes con Trastorno Límite de la Personalidad (TLP).

El estudio, denominado PORTICO (Nº EudraCT: 2020-003469-20), es un Ensayo de Fase IIb, multicéntrico, doble ciego, aleatorizado, controlado con placebo, para evaluar la eficacia y la seguridad del tratamiento con vafidemstat en pacientes adultos con TLP. El ensayo tiene dos objetivos primarios independientes: evaluar el efecto de vafidemstat para reducir la agitación y agresividad de los pacientes, y evaluar la mejora global de la enfermedad. El ensayo incluye múltiples criterios de valoración primarios y secundarios. El ensayo se llevará a cabo en 15-20 centros en Europa y EE.UU. y planea incluir unos 160 pacientes en total, distribuidos en dos brazos. Está previsto realizar un análisis intermedio para ajustar el número final de pacientes necesarios para evaluar la eficacia.

El Dr. Carlos Buesa, Presidente y CEO de Oryzon, ha comentado: "El inicio de PORTICO en EE.UU es un hito corporativo muy importante, permitirá acelerar de forma decisiva el estudio y facilita además el diálogo con el regulador estadounidense de cara a los siguientes pasos en el desarrollo clínico de vafidemstat."

PORTICO basa su racional científico en la capacidad de vafidemstat de inhibir LSD1, reduciendo la agresión, aumentando la sociabilidad y mitigando la evitación social, como se ha probado en varios modelos preclínicos (ver Maes et al., PLOS ONE 2020 <https://journals.plos.org/plosone/article?id=10.1371/journal.pone.0233468>), así como en los datos clínicos obtenidos en el ensayo de Fase IIa REIMAGINE, donde vafidemstat redujo la agitación-agresión en pacientes con TLP, trastorno por déficit de atención e hiperactividad y trastorno del espectro autista, y mostró efectos globales positivos en estos trastornos psiquiátricos, especialmente en TLP, tras 2 meses de tratamiento. Vafidemstat ha mostrado un perfil de seguridad y tolerabilidad favorable en múltiples ensayos clínicos de Fase I/II, con más de 300 sujetos tratados, algunos de ellos durante hasta 24 meses. Vafidemstat no se ha asociado con sedación, aumento de peso o efectos secundarios extrapiramidales, que son comunes en los tratamientos antipsicóticos actuales, ni con ningún otro evento adverso.

El Director Médico de Oryzon para SNC, el Dr. Michael Ropacki, ha comentado: "Se cree que el trastorno límite de la personalidad se deriva de complejas interacciones entre factores ambientales, anatómicos, funcionales, genéticos y epigenéticos. Teniendo en cuenta el papel de la epigenética en el TLP, los datos preclínicos de vafidemstat que apoyan la restauración de la conectividad entre el córtex prefrontal y el cerebro medio, así como los datos en humanos que apoyan mejoras en la agitación y agresividad y una mejora global en la enfermedad TLP, creemos que vafidemstat puede transformar el tratamiento de los pacientes con TLP."

El TLP es un trastorno mental grave que afecta al 1,6% de la población general. Los pacientes con TLP suelen experimentar inestabilidad emocional, impulsividad, creencias irracionales y percepción distorsionada, y relaciones intensas pero inestables con los demás. La agitación y agresividad, a menudo contra uno mismo, y una alta tasa de suicidios son también frecuentes en estos pacientes. No hay tratamientos farmacológicos aprobados para esta enfermedad, y se calcula que alrededor de 1,4 millones de pacientes con TLP en EE.UU. son tratados con fármacos no autorizados para hacer frente a los diferentes síntomas..

Sobre Oryzon

Fundada en 2000 en Barcelona, España, Oryzon es una compañía biofarmacéutica de fase clínica líder europea en Epigenética. Oryzon tiene una de las carteras más fuertes en el sector. El programa LSD1 de Oryzon tiene en la actualidad dos moléculas en ensayos clínicos de Fase II, vafidemstat y iadamemstat. Además, Oryzon cuenta con programas en curso para el desarrollo de inhibidores contra otras dianas epigenéticas. La compañía posee también una fuerte plataforma tecnológica para la identificación de biomarcadores y valida biomarcadores y dianas para una variedad de enfermedades oncológicas y neurológicas. La compañía tiene oficinas en España y EEUU. Oryzon es uno de los valores biotecnológicos más líquidos de Europa, con más de 90 millones de acciones negociadas en 2020. Para más información, visitar www.oryzon.com

Sobre Vafidemstat

Vafidemstat (ORY-2001) es un inhibidor de LSD1 activo por vía oral, optimizado para SNC. La molécula actúa a diferentes niveles, reduciendo el deterioro cognitivo, la pérdida de memoria y la neuroinflamación, y además ejerce efectos neuroprotectores. En modelos preclínicos vafidemstat restaura el deterioro cognitivo y elimina la agresividad exacerbada de los ratones SAMP8, un modelo de envejecimiento acelerado y Enfermedad de Alzheimer (EA), a niveles normales y también reduce la evitación social e incrementa la sociabilidad en diferentes modelos murinos. Además, vafidemstat ha mostrado una eficacia rápida, potente y duradera en varios modelos preclínicos de esclerosis múltiple (EM). Oryzon ha llevado a cabo dos estudios clínicos de Fase IIa en agresividad en pacientes con diferentes enfermedades psiquiátricas (REIMAGINE) y en pacientes agitados/agresivos con EA moderado o severo (REIMAGINE-AD), con resultados clínicos preliminares positivos reportados en ambos. Otros estudios clínicos de Fase IIa con vafidemstat finalizados son el estudio ETHERAL en pacientes con EA leve o moderada, donde se ha demostrado una disminución significativa del biomarcador de inflamación YKL40 tras 6 meses de tratamiento, y el estudio piloto, de pequeña escala SATEEN en pacientes con EM remitente-recurrente y EM secundaria progresiva. La compañía ha iniciado recientemente un estudio clínico de Fase IIb (PORTICO) con vafidemstat en trastorno límite de la personalidad y está preparando un estudio de Fase IIb (EVOLUTION) en pacientes con esquizofrenia. Oryzon también está desplegando un enfoque de medicina de precisión con vafidemstat en subpoblaciones de pacientes genéticamente definidas de ciertos trastornos del SNC. Vafidemstat está siendo evaluado además en un ensayo de Fase II en pacientes graves por Covid-19 (ESCAPE) donde se valora la capacidad del fármaco de prevenir el Síndrome de Destrés Respiratorio Agudo, una de las complicaciones más graves de la infección viral.

AFIRMACIONES O DECLARACIONES CON PROYECCIONES DE FUTURO

Esta comunicación contiene información y afirmaciones o declaraciones con proyecciones de futuro sobre Oryzon. Asimismo, incluye proyecciones y estimaciones financieras con sus presunciones subyacentes, declaraciones relativas a planes, objetivos, y expectativas en relación con futuras operaciones, inversiones, sinergias, productos y servicios, y declaraciones sobre resultados futuros. Las declaraciones con proyecciones de futuro no constituyen hechos históricos y se identifican generalmente por el uso de términos como "espera", "anticipa", "cree", "pretende", "estima" y expresiones similares.

Si bien Oryzon considera que las expectativas recogidas en tales afirmaciones son razonables, se advierte a los inversores y accionistas de Oryzon de que la información y las afirmaciones con proyecciones de futuro están sometidas a riesgos e incertidumbres, muchos de los cuales son difíciles de prever y están, de manera general, fuera del control de Oryzon, lo que podría provocar que los resultados y desarrollos reales difieran significativamente de aquellos expresados, implícitos o proyectados en la información y afirmaciones con proyecciones de futuro. Entre tales riesgos e incertidumbres están aquellos identificados en los documentos remitidos por Oryzon a la Comisión Nacional del Mercado de Valores y que son accesibles al público.

Se recomienda no tomar decisiones sobre la base de afirmaciones o declaraciones con proyecciones de futuro, ya que se refieren exclusivamente a la fecha en la que se manifestaron, no constituyen garantía alguna de resultados futuros y no han sido revisadas por los auditores de Oryzon. La totalidad de las declaraciones o afirmaciones de futuro de forma oral o escrita emitidas por Oryzon o cualquiera de sus miembros del consejo, directivos, empleados o representantes quedan sujetas, expresamente, a las advertencias realizadas. Las afirmaciones o declaraciones con proyecciones de futuro incluidas en este documento están basadas en la información a disposición de Oryzon a la fecha de esta comunicación.

IR, EEUU

Ashley R. Robinson
LifeSci Advisors, LLC
+1 617 430 7577
arr@lifesciadvisors.com

IR & Medios, Europa

Mary-Ann Chang
LifeSci Advisors, LLC
+44 7483 284 853
mchang@lifesciadvisors.com

España

Patricia Cobo
/ Carlos C. Ungría
+34 91 564 07 25
pcobo@atrevia.com
cungría@atrevia.com

Oryzon

Emili Torrell
BD Director
+34 93 515 13 13
etorrell@oryzon.com