

## **ORYZON anuncia el reclutamiento del primer paciente en un estudio clínico de Fase Ib de iadademstat en leucemia mieloide aguda en primera línea**

- **El estudio explorará la triple combinación con venetoclax y azacitidina**
- **Estudio patrocinado por Oregon Health & Science University (OHSU)**

**MADRID, ESPAÑA y CAMBRIDGE, EEUU, 9 de septiembre de 2024** - Oryzon Genomics S.A., compañía biofarmacéutica de fase clínica centrada en la epigenética para el desarrollo de terapias para enfermedades con importantes necesidades médicas no resueltas, ha anunciado hoy que se ha reclutado el primer paciente, al que se le ha administrado ya la primera dosis, en un ensayo de Fase Ib de búsqueda de dosis de iadademstat, el potente y selectivo inhibidor de LSD1 de Oryzon, en combinación con venetoclax y azacitidina en leucemia mieloide aguda (LMA) en primera línea. Se trata de un estudio clínico de los llamados “iniciado por investigador” (*investigator-initiated study* en inglés) patrocinado por el Oregon Health & Science University (OHSU) Knight Cancer Institute.

Bajo la dirección del Dr. Curtis Lachowicz del OHSU Knight Cancer Institute, este estudio ([NCT06357182](#)) evaluará la seguridad, tolerabilidad y dosis óptima de iadademstat cuando se administra junto con venetoclax y azacitidina, el tratamiento de referencia, en pacientes con LMA de diagnóstico reciente. El ensayo también evaluará la eficacia preliminar de la triple combinación.

El Dr. Curtis Lachowicz, Investigador Principal del estudio, ha comentado: “Dada la actividad observada con inhibidores de LSD1 en combinación con azacitidina en LMA, probar una combinación triple que incluya iadademstat con el tratamiento de referencia actual azacitidina+venetoclax es el siguiente paso lógico para intentar mejorar las perspectivas de los pacientes que viven con LMA, si se demuestra que la combinación es segura y activa.”

El Dr. Carlos Buesa, CEO de Oryzon, ha añadido: “Este ensayo se basa en los resultados positivos obtenidos en nuestro ensayo ALICE en LMA en primera línea, donde la combinación de iadademstat con azacitidina mostró una fuerte actividad antileucémica con respuestas profundas y duraderas y un perfil de seguridad manejable, incluso en pacientes con factores de pronóstico de alto riesgo que responden mal a venetoclax+azacitidina.”

En el ámbito de la LMA, iadademstat también está siendo evaluado en un ensayo de Fase Ib patrocinado por Oryzon en combinación con gilteritinib, en pacientes con LMA en recaída/refractaria portadores de una mutación de la tirosina cinasa de tipo FMS (FLT3mut+). Este ensayo FRIDA se está llevando a cabo en EE.UU. Los resultados preliminares de FRIDA correspondientes a las dos primeras cohortes se presentaron recientemente en el congreso de la Asociación Europea de Hematología (EHA) 2024 celebrado en junio. Nuestros resultados demostraron que la combinación de iadademstat más gilteritinib era segura y bien tolerada, y presentaba una actividad antileucémica alentadora.



## Sobre Oryzon

Fundada en 2000 en Barcelona, España, Oryzon es una compañía biofarmacéutica de fase clínica líder europea en epigenética, con un fuerte enfoque en medicina personalizada para enfermedades del SNC y oncología. El equipo de Oryzon se compone de profesionales altamente cualificados de la industria farmacéutica, ubicados en Barcelona, Boston y San Diego. Oryzon tiene una cartera clínica avanzada, con dos inhibidores de LSD1, vadademstat en SNC y iadademstat en oncología, en varios ensayos clínicos de Fase II. La compañía tiene además otros programas dirigidos contra otras dianas epigenéticas como HDAC6, donde ORY-4001 ha sido nombrado como candidato clínico para el tratamiento de ciertas enfermedades neurológicas como CMT y ELA. La compañía posee también una fuerte plataforma para la identificación de biomarcadores y validación de dianas para una variedad de enfermedades oncológicas y neurológicas. Para más información, visitar [www.oryzon.com](http://www.oryzon.com)

## Sobre iadademstat

Iadademstat (ORY-1001) es una pequeña molécula oral, que actúa como inhibidor altamente selectivo de la enzima epigenética LSD1 y tiene un potente efecto diferenciador en cánceres hematológicos (ver Maes et al., Cancer Cell. 2018 Mar 12;33(3):495-511.e12. doi: 10.1016/j.ccell.2018.02.002.). Un primer ensayo clínico de Fase I/IIa con iadademstat en pacientes con LMA recurrente o refractaria demostró la seguridad y buena tolerabilidad del fármaco y señales preliminares de actividad antileucémica, incluyendo una CRi (ver Salamero et al, J Clin Oncol, 2020, 38(36): 4260-4273. doi: 10.1200/JCO.19.03250). Iadademstat ha mostrado resultados alentadores de seguridad y eficacia en combinación con azacitidina en un ensayo de Fase IIa en pacientes ancianos con LMA de primera línea (ensayo ALICE) (ver Salamero et al., comunicación oral ASH-2022 y The Lancet Haematology, 2024, 11(7):e487-e498). Iadademstat está siendo evaluado actualmente en combinación con gilteritinib en el ensayo de Fase Ib FRIDA en pacientes con LMA refractarios/en recaída con mutaciones FLT3. Más allá de los cánceres hematológicos, la inhibición de LSD1 se ha propuesto como una aproximación terapéutica válida en ciertos tumores sólidos como el cáncer de pulmón de células pequeñas (CPCP), tumores neuroendocrinos (NET), meduloblastoma y otros. En un estudio de Fase IIa en combinación con platino/etopósido en pacientes con CPCP de segunda línea (ensayo CLEPSIDRA), se han reportado resultados preliminares de actividad y seguridad (ver Navarro et al, póser ESMO-2018). Iadademstat está siendo evaluado en un ensayo colaborativo de Fase II con el Fox Chase Cancer Center en combinación con paclitaxel en carcinomas neuroendocrinos refractarios/en recaída, y la compañía está preparando un nuevo ensayo en combinación con inhibidores de control inmunitario (ICI) en CPCP. Oryzon ha firmado un Acuerdo de Cooperación en Investigación y Desarrollo (CRADA) con el Instituto Nacional del Cáncer (NCI) de EEUU para colaborar en el posible desarrollo clínico adicional de iadademstat en diferentes tipos de cánceres sólidos y hematológicos; el primer ensayo será un ensayo en combinación con ICI en CPCP, recientemente autorizado por la FDA. Asimismo Oryzon está ampliando el desarrollo clínico de iadademstat a través de estudios clínicos iniciados por investigadores (*investigator-initiated studies*). Iadademstat tiene la designación de medicamento huérfano para CPCP en EEUU y para LMA en EEUU y la UE.

## 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.

España	Oryzon	IR, EEUU	IR & Medios, Europa
Patricia Cobo/Mario Cordera	Emili Torrell	Ashley R. Robinson	Sandya von der Weid
Atrevia	Director Desarrollo Negocio	LifeSci Advisors, LLC	LifeSci Advisors, LLC
+34 91 564 07 25	+34 93 515 1313	+1 617 430 7577	+41 78 680 05 38
+34 673 33 97 65			
pcobo@atrevia.com	etorrell@oryzon.com	arr@lifesciadvisors.com	svonderweid@lifesciadvisors.com
mcordera@atrevia.com			