

## ORYZON obtiene la aprobación de la MHRA para iniciar el ensayo clínico de ORY-1001, un novedoso Inhibidor de LSD1, en Pacientes con Leucemia Mieloide Aguda (LMA) en el Reino Unido

**Es el primer programa mundial en la diana LSD1 en iniciar ensayos clínicos.**

**Barcelona, España. 16 Enero, 2014.** ORYZON, líder europeo en el campo de la Epigenética ha anunciado hoy que ha recibido con fecha 15 de Enero de 2014 la aprobación de la Agencia Británica del Medicamento (MHRA) para iniciar el estudio clínico de Fase I/IIA con ORY-1001 un inhibidor selectivo de la diana LSD1 en pacientes con leucemia aguda refractaria o en recaída en el Reino Unido.

Este ensayo de primera administración mundial en humanos se iniciará en España en el Hospital Valle de Hebrón de Barcelona con la participación del equipo de oncohematología del Dr. Francesc Bosch. Otros Hospitales españoles y del Reino Unido se incorporarán al ensayo en los próximos meses.

La Agencia Española del Medicamento (AMPS) ya aprobó el inicio del ensayo con ORY-1001 el 26 de Diciembre de 2013. Con esta aprobación se dan las condiciones para desarrollar el estudio clínico en los plazos previstos por la compañía

El inhibidor específico de demetilasa de lisina (*Lysine Specific Demethylase-1* (LSD1) es un modulador epigenético que regula el funcionamiento del genoma interaccionando con otras proteínas controladoras de la expresión del ADN. La inhibición de LSD1 con ORY-1001 provoca cambios en el programa de expresión génica de las células leucémicas que las induce a diferenciarse en células normales. Algunos tipos específicos de leucemia aguda, como las del tipo MLL y otras, son adictas a LSD1 de forma que ORY-1001 provoca apoptosis en las células madre leucémicas mientras que los progenitores de las células sanas no se ven afectados. En 2012, el papel crucial de LSD1 en las células madre leucémicas en la LMA y su rol como terapia de diferenciación fueron publicados en las prestigiosas revistas Cancer-Cell y Nature Medicine por grupos independientes.

La Dra. Tamara Maes, Directora Científica de la compañía ha declarado "ORYZON inició su programa *first in class* en el modulador epigenético LSD1 hace varios años y hemos desarrollado un amplio portfolio en el campo. Estamos muy satisfechos de anunciar que nuestro compromiso con el desarrollo de estrategias disruptivas para combatir enfermedades muy graves está iniciando a dar sus frutos. Hemos recibido la aprobación de la AEMPS para ensayar ORY-1001 en pacientes que se convierte así en el primer inhibidor de LSD1 en ser ensayado en la clínica. Estamos esperanzados en el potencial de ORY-1001 en el tratamiento de la leucemia aguda y, en el futuro, de otros cánceres". ORY-1001 es un inhibidor extremadamente selectivo y de gran potencia (sub-nanomolar) que se administra oralmente. ORY-1001 reduce el potencial de las células madre leucémicas, inhibe la formación de colonias y rompe el bloqueo de diferenciación de las células LMA induciendo apoptosis e inhibiendo la proliferación. Además de su papel en LMA, ORY-1001 ha demostrado eficacia terapéutica en modelos animales

de leucemia linfoblástica aguda (LLA). El fármaco experimental para el ensayo será fabricado por IDIFARMA (Navarra, España).

En Agosto de 2013, ORY-1001 recibió de la Agencia Europea del Medicamento (EMA) la designación de medicamento huérfano. Esta designación se aplica a medicamentos que se desarrollan para enfermedades raras que son muy graves y para las que no hay tratamientos médicos satisfactorios. ORYZON planea solicitar la misma designación de la FDA en Estados Unidos.

La Leucemia Mieloide Aguda (LMA) es un cáncer de la sangre que se origina en las células madre mieloides. La mayoría de los pacientes con LMA mueren por la progresión de la enfermedad tras la recaída que es debida a una pequeña fracción de células llamadas células madre leucémicas (LSC). Las terapias actuales se dirigen a las células leucémicas de división rápida y suelen conseguir una remisión temporal de la enfermedad pero no afectan a las LSC. Por este motivo, la industria farmacéutica está realizando esfuerzos para desarrollar fármacos que ataquen en la médula ósea a las LSC sin afectar a las células madre del resto de las componentes de la sangre. Se ha demostrado que la actividad LSD1 es crucial para la viabilidad de las LSC por lo que la inhibición de LSD1 parece una buena estrategia para el tratamiento de esta enfermedad.

La Epigenética es un campo de gran actualidad en la industria farmacéutica con una gran actividad de alianzas y acuerdos. ORYZON es el líder mundial en demetilasas de Histonas con un énfasis específico en la familia LSD. LSD1 ha sido propuesto como diana farmacéutica no solo en oncología sino también en enfermedades virales y en neurodegeneración. ORYZON ha desarrollado en un ambicioso programa de química médica unos 900 compuestos y dos candidatos preclínicos. Según Carlos Buesa, Director General de la compañía "El inicio del ensayo clínico con una molécula tan refinada como ORY-1001 representa un hito clave para nuestra empresa, Los programas de Oryzon están llamados a jugar un papel importante en el campo de las demetilasas e intentaremos maximizar su potencial atrayendo a los socios más adecuados para cada uno de los diferentes programas"

La compañía tiene un segundo programa en neurodegeneración que ha sido parcialmente financiado por la Asociación filantrópica norteamericana *Alzheimer's Drug Discovery Foundation* (ADDF) que ha sido presentado este mes de enero en el *Biotech Showcase 2014* en San Francisco con el título "*LSD1 Inhibition stops cognitive impairment in Neurodegenerative Diseases*" (*La inhibición de LSD1 detiene el deterioro cognitivo en enfermedades neurodegenerativas*).

## Acerca de Oryzon

Fundada en el año 2000 en Barcelona ESPAÑA, Oryzon ([www.oryzon.com](http://www.oryzon.com)) es actualmente el líder europeo en Epigenética. La compañía tiene una completa plataforma de identificación de biomarcadores. Con especialización en genómica la compañía identifica dianas terapéuticas en una variedad de enfermedades oncológicas y neurodegenerativas y desarrolla fármacos contra estas dianas hasta Fase I y II

**Para más información, contacte:**

**Emili Torrell**  
**Business Development Officer**  
Tel. +34 93 515 13 13,  
[etorrell@oryzon.com](mailto:etorrell@oryzon.com)