

ORYZON anuncia que ha mantenido una exitosa reunión pre-IND con la FDA para el desarrollo clínico de vafidemstat en enfermos de Trastorno Límite de Personalidad

- ❖ **Se presentó el diseño de PORTICO, un estudio de Fase IIb con vafidemstat en enfermos de Trastorno Límite de Personalidad que se realizará parcialmente en EE.UU.**
- ❖ **Oryzon procederá a solicitar el IND**
- ❖ **PORTICO se desarrollará en hospitales norteamericanos y europeos**

MADRID, ESPAÑA y CAMBRIDGE, EEUU, 15 de marzo de 2021 – 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 ha mantenido una constructiva y exitosa reunión con la agencia reguladora del medicamento norteamericana (FDA) para presentar PORTICO, un estudio de Fase IIb en enfermos de Trastorno Límite de Personalidad (TLP) con vafidemstat, un inhibidor de la diana epigenética LSD1, que se realizará parcialmente en EE.UU.

Las reuniones pre-IND con la FDA permiten conocer de antemano la opinión de la Agencia reguladora norteamericana y realizar en su caso las adaptaciones necesarias al protocolo para cumplir plenamente con los requerimientos del regulador. Basado en la respuesta escrita de la FDA, Oryzon procederá a solicitar en las próximas semanas el IND, que faculta el inicio formal del ensayo clínico PORTICO en EE.UU. y que se estima podría estar operativo en territorio norteamericano en el segundo trimestre del presente año.

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 con TLP. El ensayo tiene dos objetivos principales independientes entre sí: demostrar la reducción de la agresividad y agitación, y demostrar la mejoría global de la enfermedad. En un principio está previsto incluir 156 pacientes, 78 en cada brazo del ensayo, y el ensayo contempla un análisis intermedio para ajustar el número definitivo de pacientes necesarios para poder demostrar estadísticamente la eficacia. Inicialmente participarán hospitales españoles, estadounidenses y de otros países europeos. El estudio ya está aprobado en Europa por la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS).

PORTICO se fundamenta en los datos clínicos del ensayo de Fase IIa REIMAGINE, donde vafidemstat redujo la agitación-agresión en pacientes con trastorno por déficit de atención con hiperactividad (TDAH),

trastorno del espectro autista (TEA) y TLP después de 2 meses de tratamiento, y también del ensayo de Fase IIa REIMAGINE-AD, en el que vafidemstat redujo la agitación-agresión en pacientes con enfermedad de Alzheimer grave y moderada después de 6 meses de tratamiento. Vafidemstat ha demostrado ser seguro y bien tolerado en múltiples ensayos clínicos en aproximadamente 300 sujetos tratados, algunos en terapia continua por hasta 18 meses. El fundamento científico de PORTICO se basa en la capacidad de vafidemstat para inhibir la LSD1 y modular la agresión y la sociabilidad, como se probó en varios modelos preclínicos (ver Maes et al., PLOS ONE 2020, <https://journals.plos.org/plosone/article?id=10.1371/journal.pone.0233468>).

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. Para más información, visitar www.oryzon.com

Sobre Vafidemstat

Vafidemstat (ORY-2001) es una pequeña molécula oral, que actúa como inhibidor de LSD1 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 sendos estudios clínicos de Fase IIa en agresividad en pacientes con diferentes enfermedades psiquiátricas (estudio REIMAGINE) y en pacientes agitados/agresivos con EA moderado o severo (REIMAGINE-AD), con resultados clínicos reportados positivos. 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 recibido recientemente la autorización para iniciar 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. 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.

Sobre el Trastorno Límite de la Personalidad

El Trastorno Límite de la Personalidad (TLP), Borderline Personality disorder (BPD) en inglés, es una de las enfermedades psiquiátricas más complejas, debilitantes desde el punto de vista funcional y de coste más elevado para los sistemas de salud, que afecta a entre el 0,5 y el 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. Hasta un 10% de las personas afectadas mueren por suicidio. Se trata de una importante necesidad médica no resuelta. La psicoterapia es el tratamiento de primera línea y, aunque pueden recetarse medicamentos para tratar síntomas específicos, no existe ningún tratamiento aprobado por la FDA para pacientes con TLP. Se calcula que alrededor de 1,4 millones de pacientes con TLP en EE.UU. son tratados con fármacos no aprobados para TLP, aprobados para otras indicaciones y que sólo tratan síntomas en lugar de la propia enfermedad.

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