

ORYZON inicia una colaboración preclínica en síndrome de Kabuki con el Instituto Kennedy Krieger y la Universidad Johns Hopkins

MADRID, ESPAÑA y CAMBRIDGE, MA, EE.UU., 3 de mayo de 2022 - 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 el inicio de una colaboración preclínica sobre el síndrome de Kabuki con investigadores del Instituto Kennedy Krieger y la Universidad Johns Hopkins, colaboración que será dirigida por la Dra. Jacqueline Harris, directora de la Clínica de Epigenética del Instituto Kennedy Krieger y profesora asistente de pediatría, neurología y genética en la Facultad de Medicina de la Universidad Johns Hopkins y el Dr. Hans Bjornsson, fundador de la Clínica de Epigenética y Cromatina y profesor asociado de pediatría y genética en la Facultad de Medicina de la Universidad Johns Hopkins.

El síndrome de Kabuki (SK) es un trastorno autosómico dominante/ligado al cromosoma X que afecta a uno de cada 32000 niños y afecta a múltiples sistemas de órganos, incluidos los sistemas neurológico, inmunológico, auditivo y cardíaco. Los pacientes muestran rasgos faciales distintivos característicos, retraso del crecimiento y discapacidad intelectual leve a moderada y trastornos autoinmunitarios. La mayoría (>70 %) de los casos de SK confirmados molecularmente tienen mutaciones que producen la pérdida de función de una de las dos copias del gen KMT2D. Este gen, también conocido como MLL2, realiza una función opuesta al LSD1 en la activación de la cromatina, regulando la expresión de genes diana críticos para el desarrollo normal pre y post-natal.

Un trabajo reciente publicado por el laboratorio del Dr. Bjornsson en la Universidad JHU ha demostrado que la inhibición farmacológica de LSD1 produce una compensación importante en un modelo de ratón que reproduce muchos fenotipos humanos, rescatando la neurogénesis hipocampal posnatal, la morfología neuronal aberrante, el equilibrio de modificación de histonas en el hipocampo y anomalías específicas en la expresión de genes clave, lo que se traduce en niveles de normalización de la memoria y de los defectos inmunológicos. Estos datos sugieren que la inhibición de LSD1 puede ser una estrategia de tratamiento plausible para el SK y respaldan la hipótesis de que la desregulación epigenética secundaria a la disfunción de KMT2D juega un papel importante en el curso de la enfermedad neurológica posnatal en el SK.

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, con dos inhibidores de LSD1 en ensayos clínicos de Fase II, iadamstat y vafidemstat, y otros programas dirigidos contra otras dianas epigenéticas. 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

Sobre Vafidemstat

Vafidemstat (ORY-2001) es un inhibidor de LSD1 optimizado para SNC activo por vía oral. 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 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 y 12 meses de tratamiento, y el estudio piloto, de pequeña escala SATEEN en pacientes con EM remitente-recurrente y EM secundaria progresiva, donde también se ha observado actividad antiinflamatoria. Vafidemstat ha sido evaluado además en un ensayo de Fase II en pacientes graves por Covid-19 (ESCAPE) donde se evaluó la capacidad del fármaco de prevenir el Síndrome de Destrés Respiratorio Agudo, una de las complicaciones más graves de la infección viral, donde mostró efectos antiinflamatorios significativos en pacientes de Covid-19 graves. Actualmente vafidemstat está en dos ensayos clínico de Fase IIb en pacientes con trastorno límite de la personalidad (PORTICO) y en pacientes con esquizofrenia (EVOLUTION). Oryzon también está desplegando un enfoque de medicina de precisión en SNC y está preparando un ensayo clínico con vafidemstat en pacientes con síndrome de Kabuki, entre otras subpoblaciones de pacientes definidas genéticamente de ciertas enfermedades del SNC.

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

Sandya von der Weid
LifeSci Advisors, LLC

+41 78 680 05 38

svonderweid@lifesciadvisors.com

España

Patricia Cobo
/ Carlos C. Ungría

+34 91 564 07 25

pcobo@atrevia.com
cungria@atrevia.com

Oryzon

Saikat Nandi
Director Global de
Negocio

+1 917 208 8293

snandi@oryzon.com