

## ORYZON anuncia la aprobación por la FDA de la designación de medicamento huérfano de iadademstat para el tratamiento del cáncer de pulmón de células pequeñas

- **Designación de medicamento huérfano concedida para CPCP y LMA**

**MADRID, ESPAÑA y CAMBRIDGE, MA, EE.UU., 8 de junio 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 que la Agencia Regulatoria del Medicamento de los Estados Unidos (FDA) ha otorgado la designación de medicamento huérfano a su inhibidor de LSD1 en fase clínica, iadademstat, para el tratamiento de pacientes con cáncer de pulmón de células pequeñas (CPCP). Iadademstat es un inhibidor de LSD1 muy potente y selectivo, activo por vía oral. La enzima epigenética LSD1 es un remodelador de cromatina que interactúa con una variedad de factores de transcripción involucrados en CPCP, otros tumores sólidos y cánceres hematológicos como la leucemia mieloide aguda (LMA).

“Recibir la designación de medicamento huérfano para iadademstat en CPCP es un reconocimiento importante del papel que las nuevas terapias dirigidas con nuevos mecanismos de acción pueden traer a esta comunidad de pacientes, donde todavía no tenemos ningún medicamento potencialmente curativo”, ha comentado el Dr. Douglas Faller, Director Médico Global de Oryzon. “Iadademstat es una novedosa aproximación terapéutica epigenética para el tratamiento de este tumor rápidamente mortal. El fármaco tiene dos acciones independientes y complementarias contra el CPCP: iadademstat reprograma epigenéticamente el genoma de la célula tumoral, al tiempo que aumenta en gran medida la capacidad del sistema inmunitario del propio paciente para reconocer y destruir el cáncer. Estudios clínicos previos de iadademstat han demostrado su actividad y un perfil de seguridad manejable para el tratamiento del CPCP.”

El Dr. Carlos Buesa, CEO de Oryzon, ha comentado: “Estamos muy entusiasmados con la nueva designación de medicamento huérfano para iadademstat en CPCP por parte de la FDA. Esto facilitará y agilizará nuestro desarrollo de este fármaco en esta enfermedad con una gran necesidad médica no resuelta.”

La Oficina de Medicamentos Huérfanos de la FDA concede la designación de huérfano para apoyar el desarrollo de medicamentos para enfermedades raras que afectan a menos de 200.000 personas en los EE.UU. La designación de medicamento huérfano proporciona ciertos beneficios, incluyendo la exclusividad de mercado tras la aprobación regulatoria si se recibe, créditos fiscales y exenciones de tasas para ensayos clínicos cualificados.

Iadademstat ya había recibido previamente la designación de medicamento huérfano por parte de la FDA y la Agencia Europea del Medicamento (EMA) para el tratamiento de la LMA.

### **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, iadademstat 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](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). En un ensayo de Fase IIa aún en curso en pacientes ancianos con LMA de primera línea (ensayo ALICE), iadademstat ha mostrado resultados alentadores de seguridad y eficacia en combinación con azacitidina. La compañía ha obtenido recientemente la aprobación de la FDA de EE.UU para su IND para FRIDA, un ensayo de Fase Ib de iadademstat más gilteritinib en pacientes con LMA recidivante/refractaria 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, ya finalizado), se han reportado resultados preliminares de eficacia. La compañía está preparando nuevos ensayos en combinación en CPCP y NET. En total iadademstat ha sido probado en 4 ensayos clínicos en más de 100 pacientes.

### **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](mailto:arr@lifesciadvisors.com)

#### **IR & Medios, Europa**

Sandya von der Weid  
LifeSci Advisors, LLC

+41 78 680 05 38

[svonderweid@lifesciadvisors.com](mailto:svonderweid@lifesciadvisors.com)

#### **España**

Patricia Cobo  
/ Carlos C. Ungría

+34 91 564 07 25

[pcobo@atrevia.com](mailto:pcobo@atrevia.com)  
[cungria@atrevia.com](mailto:cungria@atrevia.com)

#### **Oryzon**

Saikat Nandi  
Director Global de  
Negocio

+1 917 208 8293

[snandi@oryzon.com](mailto:snandi@oryzon.com)