

ORYZON anuncia la nominación del candidato clínico ORY-4001 para el tratamiento de enfermedades del Sistema Nervioso Central (SNC)

- ❖ **Inhibidor altamente selectivo de la HDAC-6**
- ❖ **Rescata las deficiencias motoneuronales en un modelo de Charcot-Marie-Tooth (CMT)**
- ❖ **Iniciará los estudios preregulatorios IND**

MADRID, ESPAÑA y BOSTON, EEUU, 13 de Marzo de 2023 – 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 la nominación de ORY-4001, un inhibidor selectivo de la histona deacetilasa 6 (HDAC-6), como candidato a desarrollo clínico para el tratamiento de ciertas enfermedades neurológicas como la Charcot-Marie-Tooth (CMT), la Esclerosis Lateral Amiotrófica (ELA) y otras. Los inhibidores de HDAC6 se han propuesto anteriormente como tratamientos potencialmente eficaces para CMT, ELA y otros trastornos neurológicos que carecen de tratamientos eficaces.

En 2022, Oryzon y la *CMT Research Foundation* (CMTRF), una organización estadounidense sin ánimo de lucro dirigida por pacientes y centrada en ofrecer tratamientos y curas para la CMT, firmaron un acuerdo para explorar los inhibidores HDAC-6 de Oryzon. A raíz de los resultados preclínicos positivos obtenidos en el marco de esta colaboración, la empresa ha seleccionado un candidato para el desarrollo clínico, ORY-4001. Este compuesto es un inhibidor de la HDAC6 con una farmacología excelente y una selectividad muy alta frente a otras clases de HDAC, lo que se traduce en un perfil de seguridad notable que evita la hematoxicidad. El compuesto presenta fuertes propiedades antiinflamatorias y datos in vivo positivos en modelos inflamatorios. ORY-4001 ha mostrado múltiples respuestas positivas en un modelo in vivo validado de neuropatía periférica CMT1A que recapitula de forma fiable muchos de los síntomas de esta enfermedad en humanos. ORY-4001 entrará ahora en estudios IND pre-regulatorios para habilitar el compuesto para estudios clínicos en humanos.

El Dr. Jordi Xaus, CSO de Oryzon, ha comentado: "La nominación de ORY-4001 como nuevo candidato clínico es una clara confirmación de la excelencia de los Programas de Descubrimiento Epigenético en Oryzon complementando y ampliando nuestros programas ya existentes de LSD1. La alta selectividad y notable seguridad de ORY-4001 inhibiendo HDAC6 anticipa una amplia aplicabilidad en neuropatías periféricas como CMT o ELA donde existe una enorme necesidad médica."

La CMT es una enfermedad progresiva y degenerativa que afecta a los nervios periféricos. Afecta a 150.000 estadounidenses y más de 3 millones de personas en todo el mundo. Es una de las afecciones más prevalentes entre las enfermedades raras y actualmente carece de tratamientos o curas eficaces. La CMT está causada por diversas mutaciones genéticas. La CMT1A es la más prevalente de todas, y representa aproximadamente la mitad de las personas con CMT.

About Oryzon

Fundada en 2000 en Barcelona, España, Oryzon (Código ISIN: ES0167733015) es una compañía biofarmacéutica en fase clínica y líder europeo en epigenética, con un fuerte enfoque en la medicina personalizada en trastornos del Sistema Nervioso Central (SNC) y oncología. El equipo de Oryzon está compuesto por profesionales altamente reconocidos de la industria farmacéutica ubicados en Barcelona, Boston, NYC y San Diego. Oryzon tiene una cartera clínica avanzada con dos inhibidores de LSD1, vafidemstat en SNC, e iademstat en oncología en varios ensayos clínicos de fase II. La empresa tiene otros activos en fase de desarrollo dirigidos contra otras dianas epigenéticas. Además, Oryzon cuenta con una sólida plataforma de identificación de biomarcadores y validación de dianas para diversas enfermedades malignas y neurológicas. Para más información, visite www.oryzon.com

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, US

Ashley R. Robinson

LifeSci Advisors, LLC

+1 617 430 7577

arr@lifesciadvisors.com

IR & Media, Europe

Sandya von der Weid

LifeSci Advisors, LLC

+41 78 680 05 38

svonderweid@lifesciadvisors.com

Spain

Patricia Cobo/

Daniel Foley

Atrevia

+34 91 564 07 25

+ 34 672 447 094

pcobo@atrevia.com

dfoley@atrevia.com

Oryzon

Saikat Nandi

Chief Business Officer

+1 917 208 8293

snandi@oryzon.com