

ORYZON anuncia el reclutamiento del primer paciente en FRIDA, un estudio de Fase Ib con iadademstat en pacientes con leucemia mieloide aguda con mutación FLT3 recidivante/refractaria

- ❖ En combinación con gilteritinib
- ❖ **Objetivos primarios: evaluar la seguridad, tolerabilidad y dosis recomendada**
- ❖ **Objetivos secundarios: evaluar la eficacia**

MADRID, ESPAÑA y BOSTON, EEUU, 15 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 el reclutamiento del primer paciente en su estudio de Fase Ib con iadademstat en combinación con gilteritinib en pacientes con leucemia mieloide aguda (LMA) recidivante/refractaria con mutación de la tirosina quinasa tipo FMS (FLT3 mut+), en el Massachusetts General Hospital de Boston, EE.UU.

FRIDA (NCT05546580) es un estudio en abierto y multicéntrico de iadademstat en combinación con gilteritinib para el tratamiento de pacientes con LMA en recaída/refractaria (LMA R/R) con mutaciones FLT3. Los objetivos primarios del estudio son evaluar la seguridad y tolerabilidad de iadademstat en combinación con gilteritinib en pacientes con LMA R/R con mutación FLT3 y establecer la Dosis Recomendada para la Fase 2 (RP2D) para esta combinación. Los objetivos secundarios del estudio incluyen la evaluación de la eficacia del tratamiento, medida como la tasa de remisión completa y remisión completa con recuperación hematológica parcial (CR/CRh), la duración de las respuestas (DoR) y la evaluación de la enfermedad residual medible (MRD). El investigador principal del estudio es el Dr. Amir Fathi, Profesor Asociado de la Facultad de Medicina de Harvard y Director del Programa de Leucemia en el Massachusetts General Hospital. FRIDA se llevará a cabo en 10-15 centros en EE.UU.. El estudio prevé reclutar hasta aproximadamente 45 pacientes, y en caso de resultados positivos, la Compañía y la FDA han acordado realizar una reunión para discutir el mejor plan para seguir desarrollando esta combinación para esta población de pacientes con LMA tan necesitada de tratamientos nuevos.

El Dr. Carlos Buesa, Presidente y CEO de Oryzon, ha comentado: "El inicio de FRIDA es un hito corporativo importante para Oryzon, que marca una nueva expansión de nuestro pipeline clínico en nuestro afán por mejorar las opciones de tratamiento para los pacientes. Iadademstat ya ha demostrado una sólida eficacia en LMA. Esperamos que esta combinación abra nuevas vías para tratar a estos pacientes y marque una diferencia importante en sus perspectivas".

El Dr. Douglas Faller, Director Médico Global de Oryzon, ha comentado: “Nos complace anunciar el reclutamiento del primer paciente en el ensayo FRIDA. Esperamos que la combinación de iadademstat y gilteritinib proporcione respuestas profundas y duraderas a los pacientes con leucemias causadas por mutaciones FLT3.”

El fundamento científico de FRIDA se basa en la capacidad de iadademstat para inhibir la demetilasa específica de lisinas 1 (LSD1), desencadenando así un potente efecto diferenciador en los cánceres hematológicos, además de producir un efecto antileucémico al actuar contra las células madre leucémicas. Además, la combinación de iadademstat con gilteritinib demostró una sinergia muy fuerte en modelos preclínicos de LMA FLT3-mut+. Esto, junto con el hecho de que iadademstat se ha administrado a más de 100 pacientes con cáncer (incluidos pacientes con LMA) demostrando un buen perfil de seguridad, actividad y excelentes propiedades farmacológicas, apoya la evaluación de su combinación con inhibidores de FLT3 en LMA FLT3-mut+, que representa entre el 30-40% de los pacientes con LMA. En un estudio de Fase IIa recientemente finalizado (ensayo ALICE) en pacientes con LMA mayores/no aptos, iadademstat demostró una sólida eficacia en combinación con azacitidina, con una ORR del 81% en los pacientes evaluables, de los cuales el 64% fueron CR/CRi. Los datos finales del ensayo ALICE se presentaron como comunicación oral en la reciente 64ª conferencia anual ASH (ver [aquí](#) para más detalles).

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

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 Salameo et al, J Clin Oncol, 2020, 38(36): 4260-4273. doi: 10.1200/JCO.19.03250). En un ensayo de Fase IIa recientemente completado en pacientes ancianos con LMA de primera línea (ensayo ALICE), iadademstat ha mostrado resultados alentadores de seguridad y eficacia en combinación con azacitidina (ver Salameo et al., comunicación oral ASH-2022). La compañía ha obtenido la aprobación de la FDA de EEUU para su IND para FRIDA, un ensayo de Fase Ib de iadademstat más gilteritinib en pacientes con LMA refractarios/en recaída 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), se han reportado resultados preliminares de actividad y seguridad (ver Navarro et al, póser ESMO-2018). Iadademstat está siendo evaluado en un ensayo colaborativo de Fase II con el Fox Chase Cancer Center en combinación con paclitaxel en carcinomas neuroendocrinos refractarios/en recaída, y la compañía está preparando un nuevo ensayo en combinación en CPCP. Oryzon ha firmado asimismo un Acuerdo de Cooperación en Investigación y Desarrollo (CRADA) con el Instituto Nacional del Cáncer (NCI) de EEUU para colaborar en el posible desarrollo clínico adicional de iadademstat en diferentes tipos de cánceres sólidos y hematológicos. En total iadademstat ha sido administrado a más de 100 pacientes de cáncer en cuatro ensayos clínicos. Iadademstat tiene la designación de medicamento huérfano para CPCP en EEUU y para LMA en EEUU y la UE.

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/

Daniel Foley

Atrevia

+34 91 564 07 25

+ 34 672 447 094

pcobo@atrevia.com

dfoley@atrevia.com

Oryzon

Saikat Nandi

Director Global de
Negocio

+1 917 208 8293

snandi@oryzon.com