

ORYZON anuncia resultados positivos del análisis provisional preespecificado de PORTICO, un ensayo adaptativo de fase 2b en el trastorno límite de la personalidad

- ❖ **Basándose en los datos provisionales de eficacia y seguridad, el Comité Independiente de Supervisión de Datos recomienda la continuación del ensayo.**

MADRID, ESPAÑA y BOSTON, EEUU, 3 de Abril 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 resultado positivo de su análisis provisional planificado y preespecificado de su ensayo de fase 2b, PORTICO, con vafidemstat para el trastorno límite de la personalidad (TLP). Estos resultados fueron determinados por un Comité Independiente de Monitorización de Datos (IDMC) que se reunió el jueves 30 de marzo de 2023. Basándose en el análisis provisional planificado de los primeros 90 participantes que completaron el tratamiento, se determinó que el ensayo era No-fútil. Basándose en los datos de eficacia y seguridad, el Comité Independiente de Supervisión de Datos recomienda la continuación del ensayo sin modificaciones.

"Los resultados de los análisis provisionales previstos sobre los dos criterios de valoración clínicos primarios independientes del estudio PORTICO proporcionan un respaldo adicional de que vafidemstat es un fármaco seguro y bien tolerado con potencial para tratar eficazmente TLP y, potencialmente, otros trastornos psiquiátricos difíciles de tratar. Con el apoyo de nuestros investigadores y nuestro equipo, esperamos disponer de datos de primera línea a principios de 2024. En ese momento, el equipo evaluará cuidadosamente los criterios de valoración clínicos (endpoints) primarios, secundarios y exploratorios. PORTICO es un ensayo ambicioso, y esperamos que este estudio proporcione información adicional que ayude a guiar los futuros esfuerzos de desarrollo clínico de vafidemstat en el SNC, incluida la continuación de la fase III en TLP", ha comentado Dr. Michael Ropacki, Director Médico de SNC.

El Dr. Douglas V. Faller, Director Médico Global de la compañía ha afirmado "Estamos muy satisfechos de seguir avanzando en los ensayos clínicos de vafidemstat, y mantenemos la esperanza de que vafidemstat acabe aportando beneficios a una amplia comunidad de pacientes psiquiátricos. Además de PORTICO, también tenemos en marcha un ensayo en esquizofrenia, y esperamos iniciar este año un programa de medicina personalizada en el síndrome de Kabuki, un síndrome raro del neurodesarrollo, en el que se ha caracterizado bien el mecanismo de acción terapéutico de la inhibición de LSD1."

Oryzon es la única empresa que explora el potencial de la LSD1 como diana en los trastornos del SNC. Estos datos provisionales positivos son un hito importante en el desarrollo clínico de nuestro programa CNS. Estamos impacientes por leer los resultados finales del ensayo en un futuro próximo. Estamos muy agradecidos por el apoyo y el compromiso de los participantes y los investigadores del estudio", ha comentado el Dr. Carlos Buesa CEO de la compañía.

PORTICO (Nº EudraCT: 2020-003469-20, Nº ClinicalTrials.gov: NCT04932291) es un ensayo de Fase IIb, multicéntrico, doble ciego, aleatorizado, controlado con placebo, para evaluar la eficacia y la seguridad de vafidemstat en pacientes con TLP adultos. El ensayo tiene dos objetivos primarios independientes: reducir la agitación y agresividad de los pacientes, y la mejora global de la enfermedad. El ensayo está reclutando pacientes de forma activa en Europa y EE.UU y está previsto reclutar 188 pacientes, distribuidos en dos brazos. PORTICO tiene un diseño adaptativo con un análisis intermedio predefinido para ajustar el tamaño de la muestra en caso de una variabilidad excesiva en torno a los criterios de valoración.

Sobre 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

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.

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 con vafidemstat en subpoblaciones de pacientes definidas genéticamente de ciertas enfermedades del SNC y está preparando un ensayo clínico en pacientes con el

síndrome de Kabuki. La compañía también está explorando el desarrollo clínico de vafidemstat en otros síndromes del neurodesarrollo.

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