

## **ORYZON presentó datos preclínicos positivos de ORY-4001 para el tratamiento de la enfermedad de Charcot Marie Tooth (CMT) en la conferencia anual de la Sociedad de Neurología Periférica (PNS-2023)**

- ❖ **ORY-4001 revierte ampliamente los síntomas de progresión de la enfermedad de CMT en un modelo de ratón**
- ❖ **Comunicación seleccionada para una presentación oral**
- ❖ **Inhibidor de HDAC-6 altamente selectivo y seguro**
- ❖ **Próximo inicio de estudios IND pre-regulatorios**

**MADRID, ESPAÑA y BOSTON, ESTADOS UNIDOS, 21 Junio de 2023** - Oryzon Genomics, S.A. (Código ISIN: ES0167733015, ORY), una compañía biofarmacéutica en fase clínica centrada en la epigenética para el desarrollo de terapias para enfermedades con importantes necesidades médicas no resueltas, presentó ayer, en una ponencia oral, datos preclínicos de eficacia positivos de ORY-4001, un inhibidor selectivo de la histona deacetilasa 6 (HDAC-6), en la Conferencia anual de la Sociedad de Neurología Periférica (PNS-2023) celebrada en Copenhague del 17 al 20 de junio de 2023. El tratamiento con ORY-4001 logró revertir los síntomas de progresión de la enfermedad en un modelo de ratón de la enfermedad de Charcot-Marie-Tooth (CMT).

Los resultados presentados son fruto del acuerdo de colaboración entre 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, iniciado en 2022 para explorar el potencial terapéutico de los inhibidores de HDAC-6 de Oryzon. ORY-4001 se ha mostrado capaz de revertir de manera dosis-dependiente los fenotipos CMT1A. En particular, el tratamiento con ORY-4001 fue capaz de mejorar la mielinización y restaurar la integridad de los axones en el nervio ciático, y mejorar los potenciales de acción muscular compuestos y la conducción nerviosa en comparación con los animales no tratados. Es de destacar que los animales tratados con ORY-4001 mostraron una recuperación significativa del peso corporal, lo que sugiere una mejora fisiológica general. Las dosis utilizadas en este estudio con animales fueron seguras y por debajo de la dosis máxima tolerada, lo que permite considerar un posible aumento de la dosis en estudios adicionales para profundizar en el beneficio terapéutico.

ORY-4001 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 hematotoxicidad. El compuesto presenta también fuertes propiedades antiinflamatorias y datos in vivo positivos en modelos inflamatorios. ORY-4001 entrará ahora en estudios IND pre-regulatorios que permitirán preparar el compuesto para estudios clínicos.

ORY-4001 fue recientemente nominado como candidato a desarrollo clínico para el tratamiento de ciertas enfermedades neurológicas como la CMT, la esclerosis lateral amiotrófica (ELA) y otras. Los inhibidores de HDAC6 se han propuesto anteriormente como tratamientos potencialmente eficaces para CMT, la ELA y otros trastornos neurológicos que carecen de tratamientos eficaces.

El Dr. Jordi Xaus, CSO de Oryzon, ha declarado: "Es un honor para nosotros haber sido seleccionados para una presentación oral. Esto subraya el interés de la comunidad científica en los resultados del presente estudio, que sugieren fuertemente un potencial terapéutico claro en neuropatías periféricas como CMT donde hay una necesidad médica enorme. Estamos explorando con la comunidad CMT cómo podemos acelerar este programa para llegar a la clínica".

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 forma más prevalente, y representa aproximadamente la mitad de todas las personas con CMT.

### **Sobre Oryzon**

Fundada en 2000 en Barcelona, España, Oryzon es una compañía biofarmacéutica de fase clínica líder europea en epigenética, con un fuerte enfoque en medicina personalizada para enfermedades del SNC y oncología. El equipo de Oryzon se compone de profesionales altamente cualificados de la industria farmacéutica, ubicados en Barcelona, Boston, Nueva York y San Diego. Oryzon tiene una cartera clínica avanzada, con dos inhibidores de LSD1, vafidemstat en SNC y iadamemstat en oncología, en varios ensayos clínicos de Fase II. La compañía tiene además 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)

### **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**

Emili Torrell

Director de  
Desarrollo de  
Negocio

+34 93 515 1313

etorrell@oryzon.com