

## **ORYZON anuncia la última visita del último paciente en su ensayo de Fase IIb PORTICO en Trastorno Límite de la Personalidad (TLP)**

- ❖ **La compañía mantiene el objetivo de reportar resultados preliminares en el primer trimestre de 2024**
- ❖ **Se ha reclutado un total de 210 pacientes**
- ❖ **Las múltiples variables de evaluación primaria incluyen la reducción de la agitación y agresividad, y la mejora global de la enfermedad TLP**

**MADRID, ESPAÑA y BOSTON, EEUU, 7 de noviembre 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 última visita del último paciente de su estudio de Fase IIb en marcha PORTICO, que investiga la eficacia de vafidemstat en Trastorno Límite de la Personalidad (TLP).

PORTICO (Nº EudraCT: 2020-003469-20, Nº ClinicalTrials.gov: NCT04932291) es un ensayo global de Fase IIb adaptativo de 14 semanas, doble ciego, aleatorizado, controlado con placebo, que está evaluando la eficacia y la seguridad de vafidemstat en pacientes con TLP. El ensayo tiene dos variables de evaluación primaria: la reducción de la agitación y agresividad, y la mejora global de la enfermedad TLP. Como criterios de valoración primarios múltiples independientes, la significación estadística en cualquiera de ellos es suficiente para declarar el éxito del ensayo.

El ensayo ha abierto un total de 27 centros, 14 en los EE.UU. y 13 en Europa (Alemania, España, Bulgaria y Serbia), y ha reclutado un total de 210 pacientes, distribuidos en dos brazos en una ratio 1:1. El pasado mes de marzo, un análisis intermedio predefinido concluyó que PORTICO era no fútil y recomendó que el ensayo continuara tal cual sin aumentar el número de pacientes a reclutar. El Comité de Monitorización de Datos (CMD) independiente se ha reunido de forma rutinaria y ha revisado los datos de seguridad no cegados durante todo el ensayo PORTICO. El último análisis corresponde a los 198 pacientes aleatorizados iniciales (fecha de corte de datos, agosto de 2023) y el DMC recomendó continuar el ensayo sin modificaciones hasta reclutamiento completo (datos presentados recientemente en [ECNP 2023](#)). Los datos de seguridad actuales de PORTICO están alineados con los datos de ensayos anteriores de vafidemstat y siguen respaldando que vafidemstat es seguro y bien tolerado. Los resultados preliminares del estudio se esperan para el primer trimestre de 2024, tras lo cual se presentarán los datos completos en un congreso de psiquiatría y se publicarán en una revista especializada.

“Nos complace haber completado el seguimiento de todos los pacientes de nuestro ensayo de Fase IIb PORTICO, lo que nos acerca un poco más a la presentación de los datos preliminares del estudio, que esperamos para el primer trimestre de 2024”, ha comentado el Dr. Carlos Buesa, CEO de Oryzon. “Hemos diseñado PORTICO de forma ambiciosa para investigar, de forma independiente, las mejoras en la gravedad global de la enfermedad y en los niveles de agitación-agresión. Nuestra búsqueda en los criterios de evaluación primarios se replica en un rico conjunto de criterios de evaluación secundarios, lo que convierte a PORTICO en un ensayo muy informativo. Si alguno de estos datos es positivo, PORTICO representará un importante paso adelante para aportar un primer fármaco específico a estos pacientes tan necesitados.”

“Queremos dar las gracias a todos los participantes con TLP, y por la colaboración de los investigadores y su personal, así como del equipo clínico, que nos han ayudado a alcanzar el importante hito de la última visita del último paciente en PORTICO. El equipo seguirá dedicado ahora a la limpieza de datos, el cierre de la base de datos, y los resultados preliminares previstos para el primer trimestre de 2024. Esperamos que los datos de eficacia de PORTICO se alineen con los de seguridad y respalden a vafidemstat como una potencial terapia extremadamente segura y bien tolerada para TLP, una enfermedad para la que no existen fármacos autorizados actualmente”, ha dicho el Dr. Michael Ropacki, Director Médico para SNC de Oryzon.

### **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 y San Diego. Oryzon tiene una cartera clínica avanzada, con dos inhibidores de LSD1, vafidemstat en SNC y iadademstat 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)

### **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 Distrés 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.

### **Sobre el Trastorno Límite de la Personalidad**

El Trastorno Límite de la Personalidad (TLP) 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.

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.

### **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