

ORYZON recibe una ayuda para ORY-4001 de la ALS Association de EE.UU.

- ❖ **Para explorar el candidato a clínica de Oryzon ORY-4001 en ELA**
- ❖ **La ALS Association aportará una financiación de 500.000 \$**

MADRID, ESPAÑA y BOSTON, EEUU, 4 de diciembre 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 inicio de una colaboración preclínica con la ALS Association americana. La Asociación ha concedido a Oryzon una ayuda de 498.690 \$ a través de su Programa Lawrence e Isabel Barnett para el Desarrollo de Fármacos para apoyar el desarrollo preclínico regulatorio de ORY-4001, un inhibidor altamente selectivo de HDAC6, para la esclerosis lateral amiotrófica (ELA, ALS por sus siglas en inglés).

La ELA es una enfermedad neurodegenerativa progresiva que afecta a unas 27.000 personas en Estados Unidos y a un número comparable de personas en Europa. Cada año se diagnostican aproximadamente 6.300 nuevos casos de ELA en Estados Unidos. La esperanza de vida media de una persona con ELA es de aproximadamente dos a cinco años después del diagnóstico, y sólo aproximadamente el 10% de las personas con ELA sobreviven más de 10 años. La muerte suele deberse a una insuficiencia respiratoria debida a la disminución de la fuerza de los músculos esqueléticos responsables de la respiración. Existen pocas opciones de tratamiento para los enfermos de ELA, por lo que hay una gran necesidad de nuevas terapias que aborden los déficits funcionales y la progresión de la enfermedad.

La inhibición o depleción de HDAC6 se ha descrito previamente como un tratamiento potencialmente eficaz para la ELA, protegiendo contra la neurodegeneración en varios modelos de ELA en ratones y en células madre pluripotentes inducidas (iPSC por sus siglas en inglés) humanas. Oryzon ha completado recientemente un programa de descubrimiento de inhibidores de HDAC6, que ha llevado a la selección de ORY-4001, un candidato clínico con una eficacia, selectividad y seguridad prometedoras. ORY-4001 ha demostrado mejorar la función neuromuscular y neuromotora, la axonopatía y la desmielinización en un modelo de ratón de la enfermedad de Charcot-Marie Tooth (CMT) de tipo 1, la neuropatía periférica hereditaria más común. Debido al papel clave que desempeñan las alteraciones del transporte axonal y la proteostasis tanto en la CMT como en la ELA, Oryzon espera validar los beneficios de la inhibición de HDAC6 en modelos de ratón de ELA. ORY-4001 está avanzando actualmente en su caracterización en estudios toxicológicos regulatorios.

El Dr. Jordi Xaus, Director Científico de Oryzon, ha comentado: "Es un honor contar con el apoyo de la ALS Association. Los fundamentos que relacionan el mecanismo de acción de ORY-4001 con la enfermedad son sólidos. Si estos resultados preclínicos son positivos, tenemos previsto ampliar el desarrollo clínico de ORY-4001, ahora en CMT, para incluir la ELA y explorar su potencial terapéutico para las personas que padecen esta devastadora enfermedad. ORY-4001 se convertiría en nuestro segundo programa epigenético en desarrollo clínico en enfermedades del sistema nervioso. Esto es una prueba de nuestra capacidad para desarrollar eficazmente, y llevar a la clínica, moléculas epigenéticas altamente selectivas."

"Necesitamos más tratamientos con la mayor urgencia posible para ayudar a los enfermos de ELA. Estamos orgullosos de ayudar a impulsar la transición crucial de desarrollo preclínico a clínico de nuevas terapias potenciales para la ELA, como ORY-4001, a través de nuestro Programa de Desarrollo de Fármacos Lawrence e Isabel Barnett. Conseguir que los tratamientos prometedores salgan del laboratorio y pasen a las pruebas clínicas lo antes posible es clave para hacer de la ELA una enfermedad vivible hasta que podamos curarla", ha comentado el Dr. Kuldip Dave, vicepresidente senior de investigación de la ALS Association.

Fundada en 1985, la ALS Association es la mayor organización filantrópica del mundo dedicada a financiar la investigación de la ELA. La Asociación financia colaboraciones de investigación globales, ayuda a las personas con ELA y a sus familias a través de su red nacional de centros de atención clínica certificados, y aboga por mejores políticas públicas para las personas con ELA. La Asociación trabaja para hacer de la ELA una enfermedad vivible, al tiempo que busca urgentemente nuevos tratamientos y una cura. Para más información sobre la ALS Association, pueden visitar www.als.org.

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

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