



8 de Mayo de 2025 • Nota de Prensa

ORYZON recibe 13,26 millones € en el primer Proyecto Importante de Interés Común Europeo (IPCEI) en el sector sanitario (proyecto Med4Cure)

- **Oryzon validará agentes epigenéticos mediante un enfoque de medicina personalizada para enfermedades raras y huérfanas**
- **Oryzon explorará la agresividad en subconjuntos específicos del Trastorno del Espectro Autista (TEA) para ampliar el desarrollo clínico de medicina de precisión de vafidemstat**
- **Oryzon también investigará iadamstat como terapia dirigida en varios cánceres neuroendocrinos de difícil tratamiento**
- **La financiación cubre el 64% del presupuesto total del proyecto VANDAM de Oryzon**
- **Refuerza aún más la sólida posición financiera de Oryzon**

MADRID, ESPAÑA y CAMBRIDGE, EEUU, 8 de mayo de 2025 – Oryzon Genomics S.A., compañía biofarmacéutica de fase clínica y líder europeo en epigenética, ha anunciado hoy la publicación de la propuesta de resolución provisional española para Med4Cure, el primer Proyecto Importante de Interés Común Europeo (IPCEI, por sus siglas en inglés) destinado a apoyar la investigación, la innovación y el primer despliegue industrial de productos farmacéuticos y sanitarios en Europa, concediendo a Oryzon una ayuda no reembolsable de 13.263.794 € para su proyecto VANDAM. Esta cantidad corresponde al 64% del presupuesto total aceptado (20,68 millones €) del Proyecto VANDAM.

El Dr. Carlos Buesa, CEO de Oryzon, ha comentado: “Esta ayuda es un pilar clave en la estrategia clínica de Oryzon, ya que proporciona recursos financieros sustanciales que nos permiten acelerar los próximos pasos en el desarrollo clínico de vafidemstat para el tratamiento de trastornos del SNC. Más importante aún, nos permitirá explorar más a fondo el potencial terapéutico de vafidemstat en el tratamiento de la agresividad en enfermedades raras, como subtipos del TEA, donde se ha validado un enfoque epigenético. Ahora podremos evaluar sus efectos no solo en un amplio rango de pacientes con TEA, sino también aplicar un enfoque de medicina personalizada dirigido a subpoblaciones genéticamente definidas, como aquellas con síndrome de Phelan-McDermid, síndrome X frágil y otras, fortaleciendo así significativamente nuestro programa de salud mental”.

El Dr. Buesa ha añadido: “Además, esta subvención respalda una investigación más profunda de una estrategia de medicina personalizada con nuestro segundo compuesto, iadamstat, en tumores raros y

enfermedades hematológicas con base genética. Estas son áreas con alta necesidad médica no cubierta y creciente interés de la industria farmacéutica por opciones terapéuticas innovadoras. Creemos que este programa impulsará un progreso significativo en el desarrollo de iadademstat y aumentará su potencial comercial. Esta iniciativa multinacional respaldada por la UE jugará un papel crítico para garantizar el acceso de los ciudadanos europeos —y de las generaciones futuras en todo el mundo— a medicamentos de precisión de vanguardia para enfermedades raras”. El Dr. Buesa ha continuado: “Con nuestra reciente financiación de 30 millones de euros, esta subvención y otras entradas adicionales, la compañía cuenta ahora con una sólida posición de caja para ejecutar nuestros planes de desarrollo clínico.”

El Dr. Jordi Xaus, Director Científico de Oryzon, ha añadido: “Queremos expresar públicamente nuestro agradecimiento a los funcionarios de la UE y a la agencia gubernamental española CDTI por su apoyo y valiosa colaboración”.

VANDAM, acrónimo de “Validación de agentes epigenéticos para enfermedades raras del ámbito neuro aplicando un enfoque de medicina personalizada”, es un proyecto de 44 meses de duración destinado a desarrollar terapias eficaces para abordar enfermedades raras graves, incluidos trastornos del neurodesarrollo raros y tumores neuroendocrinos raros causados por mutaciones y/o pérdida de función de genes principalmente implicados en la regulación de la cromatina. El proyecto pretende mejorar la calidad de vida de estos pacientes, para los que actualmente no existen opciones de tratamiento, mediante una comprensión más profunda de las causas moleculares subyacentes y el desarrollo de terapias dirigidas que aborden selectivamente la etiopatogenia de estas enfermedades. El proyecto comenzó en enero de 2023 y se extenderá hasta agosto de 2026.

Med4Cure es un macroproyecto paneuropeo que comprende 14 iniciativas científicas desarrolladas por 13 empresas como Participantes Directos y 11 como Participantes Asociados, en seis Estados miembros de la UE: Bélgica, Francia, Hungría, Italia, Eslovaquia y España. En España, el proyecto está coordinado por el Centro para el Desarrollo Tecnológico y la Innovación (CDTI) bajo el marco del Reglamento General de Exención por Categorías (GBER por sus siglas en inglés), en consonancia con los requisitos establecidos en la convocatoria española CNU/1418/2024. España ha integrado su participación en el IPCEI Med4Cure dentro del Plan de Recuperación, Transformación y Resiliencia nacional, financiado por el Ministerio de Ciencia, Innovación y Universidades y el CDTI, con posibilidad de financiación parcial a través del Mecanismo de Recuperación y Resiliencia de la UE. Oryzon participa en Med4Cure como Participante Asociado dentro del consorcio. Tras la publicación de la resolución provisional, se espera la resolución definitiva en un plazo de 3 a 4 semanas, y la subvención será desembolsada en un único pago poco después.

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, iadademstat en SNC (listo para Fase III) y iadademstat en oncología (Fase II). La compañía tiene además otros programas dirigidos contra otras dianas epigenéticas como HDAC6, donde ORY-4001 ha sido nombrado como candidato clínico para el tratamiento de ciertas enfermedades neurológicas como CMT y ELA. 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 Salamero et al, J Clin Oncol, 2020, 38(36): 4260-4273. doi: 10.1200/JCO.19.03250). Iadademstat ha mostrado resultados alentadores de seguridad y potente actividad clínica en combinación con azacitidina en un ensayo de Fase IIa en pacientes ancianos con LMA de primera línea (ensayo ALICE) (ver Salamero et al., comunicación oral ASH-2022 y The Lancet Haematology, 2024, 11(7):e487-e498). Iadademstat está siendo evaluado actualmente en combinación con gilteritinib en el ensayo de Fase Ib FRIDA en pacientes con LMA refractarios/en recaída con mutaciones FLT3, y en combinación con azacitidina y venetoclax en LMA en primera línea en un ensayo iniciado por investigador (IIS) patrocinado por OHSU y en un ensayo bajo el Acuerdo de Cooperación en Investigación y Desarrollo (CRADA) firmado con el Instituto Nacional del Cáncer (NCI) de EEUU para colaborar en el desarrollo clínico adicional de iadademstat en diferentes tipos de cánceres sólidos y hematológicos. 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, póster ESMO-2018). Iadademstat está en un ensayo colaborativo de Fase II con el Fox Chase Cancer Center en combinación con paclitaxel en carcinomas neuroendocrinos refractarios/en recaída, y en un ensayo de Fase I/II aleatorizado en CPCP en primera línea en combinación con ICI patrocinado por NCI y liderado por el Memorial Sloan Kettering Cancer Center. Oryzon está ampliando además el desarrollo clínico de iadademstat a través de estudios clínicos iniciados por investigador adicionales. Iadademstat tiene la designación de medicamento huérfano para CPCP en EEUU y para LMA en EEUU y la UE.

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, ver Ferrer et al, Psychiatry & Clin Neurosci, 2025, doi.org/10.1111/pcn.13800) 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 demostró 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 observó 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. Vafidemstat está avanzando actualmente como activo listo para Fase III en trastorno límite de la personalidad (TLP) tras la finalización del ensayo global, aleatorizado y doble ciego de Fase IIb PORTICO (datos finales presentados en ECNP-2024). Tras la recepción de la acta de la reunión de Fin de Fase II con la FDA para discutir los resultados de PORTICO, la empresa anunció sus planes para seguir adelante con un ensayo de Fase III, PORTICO-2, en agitación/agresión en TLP (presentación de protocolo a la FDA prevista para 1S2025). Vafidemstat está siendo investigado también en un ensayo de Fase IIb doble ciego, randomizado, controlado por placebo en síntomas negativos de la esquizofrenia (el ensayo EVOLUTION; reclutando pacientes). 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 evaluando 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.

**España**

Patricia Cobo/Mario Cordera

Atrevia

+34 91 564 07 25

+34 673 33 97 65

pcobo@atrevia.com

mcordera@atrevia.com

Oryzon

Emili Torrell

Director Desarrollo Negocio

+34 93 515 1313

etorrell@oryzon.com

IR & Medios, Europa/EEUU

Sandya von der Weid

LifeSci Advisors, LLC

+41 78 680 05 38

svonderweid@lifesciadvisors.com