



17 de junio de 2025 • Nota de prensa

ORYZON participará en el Congreso del Síndrome de Phelan-McDermid (PMS) 2025 en Barcelona del 26 al 29 de junio

- **El Director Científico de Oryzon, el Dr. Jordi Xaus, participará en un panel titulado “Discusión de Perspectivas de la Industria” el 27 de junio**
- **Entre el 70 y el 90 % de los pacientes con PMS presentan rasgos relacionados con el autismo, incluyendo agresividad**
- **La agitación/agresividad en PMS y otras subpoblaciones de pacientes relacionadas con el TEA son el enfoque principal del proyecto VANDAM de Oryzon dentro del proyecto IPCEI Med4Cure**
- **Oryzon se complace en participar como Patrocinador del congreso**

MADRID, ESPAÑA y CAMBRIDGE, EEUU, 17 de junio de 2025 - Oryzon Genomics S.A., compañía biofarmacéutica de fase clínica y líder europeo en epigenética, ha anunciado hoy que su Director Científico, el Dr. Jordi Xaus, asistirá al Congreso del Síndrome de Phelan-McDermid (PMS) 2025 en Barcelona del 26 al 29 de junio, que comprende el 2º Simposio Anual CureSHANK de Desarrollo de Medicamentos para el Síndrome de Phelan-McDermid (PMSDDS2025) y la III Conferencia Científica de la Asociación Española del Síndrome de Phelan-McDermid. El Dr. Xaus participará en un panel de discusión dentro del PMSDDS2025 titulado “Discusión de Perspectivas de la Industria”, dentro de la sesión de mañana titulada “Ensayos Clínicos Comerciales y No Comerciales y Consideraciones Empresariales”, el 27 de junio.

Oryzon participa como patrocinador tanto del 2º Simposio Anual CureSHANK de Desarrollo de Medicamentos para el Síndrome de Phelan-McDermid, dirigido a la comunidad científica y que se celebrará los días 26 y 27 de junio; como de la III Conferencia Científica de la Asociación Española del Síndrome de Phelan-McDermid, dirigida a familias, médicos, investigadores y otros profesionales de la salud, que se celebrará los días 28 y 29 de junio.

Oryzon está comprometida a explorar el potencial de vafidemstat, su inhibidor de LSD1 para trastornos del SNC, en trastornos psiquiátricos monogénicos raros como el PMS u otras indicaciones relacionadas con el TEA. En el ensayo de Fase IIb PORTICO en Trastorno Límite de la Personalidad (TLP), vafidemstat demostró significación estadística nominal en la reducción de la agitación y la agresividad. La agitación y la agresividad son componentes clave del PMS. Además, vafidemstat también ha demostrado eficacia en la reducción de la agitación y la agresividad en un ensayo clínico de prueba de concepto llevado a cabo en pacientes con trastorno del espectro autista (TEA), trastorno por déficit de atención e hiperactividad (TDAH) y TLP. Los resultados finales de este ensayo se publicaron recientemente en la revista *Psychiatry and Clinical Neurosciences* (ver [aquí](#)).

Asimismo, en colaboración con el Instituto de Genética Médica y Molecular (INGEMM) y el Instituto de Investigación del Hospital La Paz (IdiPaz) en Madrid, Oryzon ha publicado recientemente en la revista



Frontiers in Psychiatry los resultados de un estudio clínico observacional realizado en PMS para recopilar datos relevantes sobre la caracterización fenotípica y clínica de sujetos con PMS, que sirvan como base para este futuro ensayo clínico de psiquiatría de precisión con vafidemstat en esta población (ver [aquí](#)).

El Dr. Jordi Xaus, Director Científico de Oryzon, ha comentado: “Los trastornos monogénicos raros vinculados a alteraciones en la maquinaria epigenética y otros genes neuronales clave se han identificado como dianas potenciales para enfoques de medicina de precisión. El uso de inhibidores de LSD1 ha demostrado rescatar parcial o totalmente los complejos fenotipos causados por estas mutaciones genéticas. Vafidemstat es actualmente el único inhibidor de LSD1 en desarrollo clínico para el SNC y representa una oportunidad prometedora para estos pacientes, una posibilidad que se explorará gracias a los fondos que se recibirán del proyecto IPCEI Med4Cure de la UE”.

A Oryzon se le ha concedido una financiación de 13,5 millones de euros a través del Proyecto Importante de Interés Común Europeo (IPCEI, por sus siglas en inglés) Med4Cure, un macroproyecto que comprende 14 proyectos científicos a desarrollar por 13 empresas como *Participantes Directos* y 11 como *Participantes Asociados*. El proyecto que desarrollará Oryzon se denomina VANDAM y tiene como objetivo validar fármacos epigenéticos como vafidemstat mediante un enfoque de medicina personalizada para enfermedades raras y huérfanas.

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 (listo para Fase III) y iadamstat 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 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, así como en síndromes del neurodesarrollo, y está evaluando la viabilidad de realizar ensayos clínicos en trastornos autistas como el síndrome de X frágil y el síndrome de Phelan-McDermid.



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