



17 de octubre de 2025 • Nota de prensa

## **ORYZON recibe comentarios de la FDA en respuesta al protocolo de Fase III presentado en Trastorno Límite de la Personalidad**

- **Aporta claridad sobre los aspectos que deben incorporarse**
- **La compañía los abordará y presentará nuevamente el protocolo revisado**

**MADRID, ESPAÑA y CAMBRIDGE, EEUU, 17 de octubre de 2025** - Oryzon Genomics S.A., compañía biofarmacéutica de fase clínica y líder global en epigenética, ha anunciado hoy que ha recibido comentarios por escrito de la Agencia de Alimentos y Medicamentos de los Estados Unidos (FDA, por sus siglas en inglés) en relación con su protocolo de Fase III para evaluar vafidemstat en Trastorno Límite de la Personalidad (TLP). La guía recibida de la FDA abarca distintos aspectos, como la selección de criterios de valoración del estudio y ciertas consideraciones no clínicas. Oryzon incorporará estas recomendaciones y volverá a presentar el protocolo revisado de Fase III. La compañía destaca que este tipo de interacciones iterativas son habituales en el diálogo regulatorio con las Agencias regulatorias.

“Agradecemos los comentarios constructivos de la FDA y lo consideramos una oportunidad para optimizar nuestro programa de Fase III con vafidemstat en trastorno límite de la personalidad”, ha comentado Carlos Buesa, Director General de Oryzon. “Alinear nuestro estudio con las recomendaciones de la Agencia fortalecerá el diseño del ensayo y, en última instancia, nuestra capacidad para poner a disposición de los pacientes con TLP una potencial terapia primera en su clase. Con el apoyo de nuestros asesores clínicos internacionales y de nuestro equipo de especialistas regulatorios, la compañía está revisando activamente el protocolo y esperamos mantener un diálogo continuado con la FDA a medida que completamos los próximos pasos”.

Oryzon tiene previsto proporcionar una nueva actualización una vez que el protocolo revisado haya sido presentado y se hayan iniciado las interacciones posteriores con la FDA.

Los demás programas clínicos en curso de Oryzon en el área del SNC continúan según lo previsto. Vafidemstat está actualmente en un ensayo clínico de Fase IIb, aleatorizado, doble ciego y controlado con placebo (ensayo EVOLUTION) para evaluar su potencial para mejorar los síntomas negativos en la esquizofrenia.

### **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 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](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, 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 Distrés Respiratorio Agudo, una de las complicaciones más graves de la infección viral, donde mostró efectos antiinflamatorios significativos en pacientes de Covid-19 graves. Tras completar el ensayo global, aleatorizado y doble ciego de Fase IIb PORTICO en trastorno límite de la personalidad (TLP), con datos finales presentados en ECNP-2024, vafidemstat está avanzando como activo listo para Fase III en agitación/agresión en TLP (protocolo estudio Fase III presentado). 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 preparando un ensayo clínico en agresión en pacientes con trastornos autistas como 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.

| <b>España</b>               | <b>Oryzon</b>               | <b>IR &amp; Medios, Europa/EEUU</b> |
|-----------------------------|-----------------------------|-------------------------------------|
| Patricia Cobo/Mario Cordera | Emili Torrell               | Sandya von der Weid                 |
| Atrevia                     | Director Desarrollo Negocio | LifeSci Advisors, LLC               |
| +34 91 564 07 25            | +34 93 515 1313             | +41 78 680 05 38                    |
| +34 673 33 97 65            |                             |                                     |
| pcobo@atrevia.com           | etorrell@oryzon.com         | svonderweid@lifesciadvisors.com     |
| mcordera@atrevia.com        |                             |                                     |