



4 de noviembre de 2025 • Nota de prensa

ORYZON anuncia datos clínicos positivos de iadademstat en el congreso ASH-2025

- **Tres abstracts sobre iadademstat han sido aceptados para presentación en ASH-2025**
- **Los datos preliminares del ensayo de Fase Ib en curso de iadademstat en combinación con azacitidina y venetoclax en pacientes con LMA de nuevo diagnóstico mostraron una tasa de respuesta global del 100%**
- **Los datos preliminares actualizados del ensayo de Fase Ib en curso FRIDA, que evalúa iadademstat en combinación con gilteritinib en LMA recidivante/refractaria con mutación FLT3, mostraron una tasa de respuesta del 67% en la dosis en expansión, superior tanto a la monoterapia con gilteritinib en datos históricos como en el mundo real**

MADRID, ESPAÑA y CAMBRIDGE, EEUU, 4 de noviembre de 2025 - Oryzon Genomics S.A., compañía biofarmacéutica de fase clínica y líder global en epigenética, ha anunciado hoy que tres abstracts sobre iadademstat, su inhibidor selectivo de LSD1 para onco-hematología, han sido aceptados para su presentación en la 67ª Reunión Anual de la Sociedad Americana de Hematología, ASH-2025, que se celebrará del 6 al 9 de diciembre de 2025 en Orlando, Florida (EE.UU.).

Los abstracts aceptados ponen de relieve datos alentadores de actividad clínica y seguridad procedentes de dos estudios clínicos en curso que evalúan combinaciones basadas en iadademstat en pacientes con leucemia mieloide aguda (LMA): el estudio FRIDA, esponsorizado por la compañía, en LMA recidivante/refractaria con mutación FLT3 en combinación con gilteritinib, y un estudio de tipo iniciado por investigador esponsorizado por Oregon Health & Science University (OHSU) en pacientes con LMA en primera línea, en combinación con venetoclax y azacitidina. Además, se ha aceptado un abstract de tipo “Ensayo en curso” (TIP, *Trial-in-Progress*) relativo a un nuevo estudio aleatorizado de iadademstat en combinación con ASTX727 en neoplasias mieloproliferativas avanzadas (NMP), esponsorizado por el Instituto Nacional del Cáncer (NCI) de EE.UU. en el marco del Acuerdo de Cooperación en Investigación y Desarrollo (CRADA) que Oryzon tiene con el NCI. Un abstract TIP es una breve descripción del diseño, los objetivos y el estado de un ensayo clínico en curso, sin incluir resultados.

La Dra. Ana Limón, Vicepresidenta Senior de Desarrollo Clínico y Asuntos Médicos Globales de Oryzon ha comentado: “Los datos emergentes de estos estudios en LMA, que demuestran que la adición de iadademstat a los tratamientos estándar actuales —venetoclax más azacitidina en pacientes con LMA de nuevo diagnóstico, o gilteritinib en LMA recidivante/refractaria con mutación FLT3— mejora la eficacia sin aumentar la toxicidad, son muy alentadores. Esto es especialmente relevante en la población FLT3+ R/R, ya que el 42% de los pacientes en nuestra cohorte habían sido tratados previamente con venetoclax, un



grupo que históricamente ha mostrado una baja respuesta a monoterapia con gilteritinib y que necesita con urgencia opciones terapéuticas más eficaces. También nos complace ver nuevos ensayos con combinaciones de iadademstat en neoplasias mieloides distintas de la LMA que requieren nuevas opciones terapéuticas, entre ellas el síndrome mielodisplásico y las neoplasias mieloproliferativas, estas últimas incluidas en el abstract TIP del NCI.”

“Estamos muy contentos de que estos abstracts sobre iadademstat hayan sido seleccionados para su presentación en ASH 2025”, ha comentado el Dr. Carlos Buesa, CEO de Oryzon. “Los resultados que se presentarán son muy prometedores y ponen de relieve el potencial de iadademstat como un modulador epigenético potente y versátil en la LMA, capaz de mostrar sinergia con los tratamientos estándar actuales para lograr respuestas en poblaciones de difícil tratamiento, con una buena tolerabilidad.”

Resumen de los abstracts aceptados

Título: Datos preliminares de seguridad y eficacia del estudio FRIDA: iadademstat y gilteritinib en leucemia mieloide aguda recidivante/refractaria con mutación FLT3

Autor que presenta: Dr. Amir Fathi

Tipo: Presentación en póster

Nombre de la sesión: 616. Leucemias mieloides agudas: fármacos en investigación y terapias celulares: Póster III

Fecha de la sesión: 8 de diciembre de 2025

Hora de la presentación: 18:00 – 20:00 (EST)

Sala: OCCC - West Halls B3-B4

ID de la presentación: 5197

El estudio de Fase Ib FRIDA (NCT05546580) evalúa la seguridad, tolerabilidad y dosis recomendada para Fase 2 (RP2D) de la combinación de iadademstat con gilteritinib en pacientes con leucemia mieloide aguda (LMA) recidivante o refractaria con mutación FLT3. En el momento de la presentación del resumen, se habían reclutado 34 pacientes, habiéndose evaluado cuatro niveles de dosis en la fase de escalado. La combinación ha mostrado ser tolerable en las dosis ensayadas. El estudio se encuentra actualmente en la fase de expansión a una dosis farmacológicamente activa seleccionada, con un total de 14 pacientes incluidos en este nivel de dosis. En la dosis seleccionada para la expansión, la combinación muestra una tasa de respuesta del 67% (8 de 12 pacientes) y una tasa de respuesta completa del 58% (CR+CRh+CRi, 7 de 12 pacientes) en los 12 pacientes evaluables. Tres pacientes se han sometido a trasplante hematopoyético (HSCT). Se presentarán datos actualizados durante el congreso.

Título: Resultados preliminares de seguridad y eficacia de una investigación de Fase Ib del inhibidor de LSD1 iadademstat (ORY-1001) en combinación con azacitidina y venetoclax en LMA de nuevo diagnóstico

Autor que presenta: Dr. Curtis Lachowicz

Tipo: Presentación en póster

Nombre de la sesión: 616. Leucemias mieloides agudas: fármacos en investigación y terapias celulares: Póster I

Fecha de la sesión: 6 de diciembre de 2025

Hora de la presentación: 17:30 – 19:30 (EST)

Sala: OCCC - West Halls B3-B4



ID de la presentación: 1649

Este ensayo de Fase Ib (NCT06357182) evalúa iadademstat en combinación con azacitidina y venetoclax en pacientes con leucemia mieloide aguda (LMA) de nuevo diagnóstico. Los datos preliminares de los primeros 8 pacientes incluidos muestran que la triple combinación es segura y activa, y da lugar a tasas de respuesta elevadas. La tasa de respuesta global (ORR) fue del 100% (n=8), con un 88% de remisiones completas (CR) y un 12,5% de estado morfológico libre de leucemia (MLFS). Tras una mediana de seguimiento de 9 meses, la supervivencia global (OS) estimada a 6 meses fue del 88%. No se observaron toxicidades limitantes de la dosis.

Título: Ensayo en curso: estudio aleatorizado de ASTX727 con o sin iadademstat en neoplasias mieloproliferativas en fase acelerada o blástica

Autor que presenta: Dr. Anand Patel

Tipo: Presentación en póster

Nombre de la sesión: 634. Síndromes mieloproliferativos: clínica y epidemiología: póster II

Fecha de la sesión: 7 de diciembre de 2025

Presentation Time: 6:00 PM - 8:00 PM EST

Sala: OCCC - West Halls B3-B4

ID de la presentación: 3827

Este estudio de Fase II (NCT06661915) investiga el uso de ASTX727 (decitabina oral y cedazuridina) con o sin iadademstat en el tratamiento de pacientes con neoplasias mieloproliferativas en fase acelerada o blástica (NMP-FA/FB). El estudio incluye una fase de escalado de dosis para identificar la dosis recomendada para Fase 2 (RP2D) de iadademstat + ASTX727, seguida de una fase aleatorizada que evaluará la eficacia de iadademstat + ASTX727 en comparación con la monoterapia con ASTX727. La fase de escalado de dosis seguirá un diseño 3+3. La aleatorización será 1:1, con 25 pacientes tratados en cada brazo durante la fase aleatorizada. El objetivo primario será la tasa de respuesta completa en leucemia aguda (ALR-C) o mejor dentro de 4 ciclos de tratamiento. Se realizará un análisis intermedio de futilidad una vez se hayan reclutado y seguido 25 pacientes para la variable ALR-C.

Este estudio está esponsorizado y llevado a cabo por el NCI, y recientemente ha comenzado a reclutar pacientes.

Existe una necesidad crítica de nuevos tratamientos para los pacientes con NMPs, especialmente para aquellos en fase acelerada (FA) o fase blástica (FB), ya que las opciones terapéuticas actuales ofrecen resultados de supervivencia muy limitados —de solo 3 a 5 meses en FB y de 12 a 18 meses en FA. Los tratamientos disponibles, aparte del trasplante alogénico de células hematopoyéticas —que sigue siendo la única intervención potencialmente curativa—, rara vez logran una modificación duradera de la enfermedad o la erradicación clonal. La modificación de la enfermedad, más allá del mero alivio de los síntomas, es un rasgo diferenciador de los inhibidores de LSD1 en las NMP, al dirigirse tanto al clon maligno subyacente como a la fibrosis y a las complicaciones mediadas por citocinas.

Los abstracts están disponibles online en la web de ASH en www.hematology.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 (listo para Fase III) y iadademstat en oncología y hematología (Fase I/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 siendo investigado 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 adicionales iniciados por investigadores, y está expandiendo el desarrollo clínico de iadademstat también a indicaciones hematológicas no oncológicas como la anemia falciforme (reclutando pacientes) y trombocitemia esencial (estudio en preparación). Iadademstat tiene la designación de medicamento huérfano para CPCP en EEUU y para LMA en EEUU y la UE.

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