



24 de febrero de 2026 • Nota de prensa

ORYZON recibe la aprobación de la Agencia Europea del Medicamento para iniciar un estudio de Fase II de iadademstat en trombocitemia esencial

MADRID, ESPAÑA y CAMBRIDGE, EEUU, 24 de febrero de 2026 - Oryzon Genomics S.A., compañía biofarmacéutica de fase clínica y líder global en epigenética, ha anunciado hoy que la Agencia Europea del Medicamento (EMA) ha aprobado su Solicitud de Autorización de Ensayo Clínico (CTA, por sus siglas en inglés) para iniciar un ensayo clínico de Fase II de iadademstat, el inhibidor potente y selectivo de LSD1 de Oryzon actualmente en desarrollo clínico en oncología y hematología, para el tratamiento de la trombocitemia esencial (TE).

El estudio, denominado IDEAL (*tratamiento con laDademstat para la trombocitemia EsenciAL*), es un estudio de Fase II multicéntrico, de un solo brazo, que se llevará a cabo en España en pacientes adultos con TE que son resistentes o intolerantes a la hidroxiurea. Los objetivos primarios del estudio son evaluar la seguridad y la tolerabilidad de iadademstat, así como determinar su eficacia en la reducción del porcentaje de pacientes con TE adultos que presentan recuentos plaquetarios anormales. Los objetivos secundarios incluyen evaluar la tasa de respuesta hematológica clínica duradera, confirmar el perfil farmacocinético y farmacodinámico de iadademstat en pacientes con TE y evaluar la duración de las remisiones hematológicas.

Iadademstat se administrará durante un máximo de 24 semanas. Habrá una fase de extensión adicional de 24 semanas para aquellos pacientes que estén obteniendo beneficio del tratamiento y que, de acuerdo con su médico, decidan continuar en el estudio.

La trombocitemia esencial es el tipo más frecuente de neoplasia mieloproliferativa (NMP) y se asocia con un mayor riesgo de complicaciones graves como ictus, infarto de miocardio y embolia pulmonar. La enfermedad afecta aproximadamente a 200.000 personas en Estados Unidos. Las estrategias terapéuticas actuales se centran principalmente en la reducción del recuento plaquetario y en el control de los síntomas de la TE, con el objetivo de disminuir el riesgo de complicaciones trombohemorrágicas y prevenir la progresión a mielofibrosis post-TE o a leucemia mieloide aguda (LMA) secundaria. A pesar de las terapias disponibles, una proporción significativa de pacientes desarrolla resistencia o intolerancia a los tratamientos de primera línea, como la hidroxiurea, lo que pone de manifiesto la necesidad de nuevos enfoques terapéuticos.

Se ha demostrado que la inhibición de LSD1 bloquea la diferenciación terminal de los megacariocitos en plaquetas, lo que conduce a una reducción sostenida del recuento de plaquetas circulantes, respaldando el uso de inhibidores de LSD1 en la TE. Se han publicado resultados positivos con otro inhibidor de LSD1 en un ensayo de Fase II en pacientes con TE de alto riesgo, lo que valida adicionalmente este mecanismo en la enfermedad.

El Dr. Carlos Buesa, CEO de Oryzon, ha comentado, “El inicio del estudio IDEAL refuerza nuestra estrategia de ampliar la aplicación clínica de iadademstat más allá de la leucemia aguda hacia otras indicaciones hematológicas con importantes necesidades médicas no cubiertas. Iadademstat es, con diferencia, el inhibidor de LSD1 más potente en desarrollo clínico, con una potencia más de 100 veces superior a la de cualquier otro inhibidor de LSD1 actualmente en desarrollo. Creemos que el perfil mecanístico de la inhibición de LSD1 sitúa de manera única a iadademstat para abordar la biología subyacente de la trombocitemia esencial, y esperamos avanzar en este importante programa, con el potencial de demostrar eficacia en todo el espectro de las enfermedades mieloproliferativas.”

La Dra. Ana Limón, Vice-presidenta Senior de Desarrollo Clínico y Asuntos Médicos Globales de Oryzon ha añadido, “La inhibición de LSD1 modifica la biología natural de las enfermedades mieloides al revertir los bloqueos en la diferenciación y reducir la prevalencia de células madre leucémicas. La intervención temprana en la TE podría potencialmente prevenir la progresión a mielofibrosis post-TE o a LMA secundaria. El estudio IDEAL explorará este potencial de iadademstat, además de evaluar sus efectos sobre el recuento plaquetario y eventos trombóticos en pacientes con TE resistentes o intolerantes al tratamiento estándar con hidroxiurea.”

Iadademstat también se está investigando activamente en múltiples ensayos clínicos en oncología, incluido el estudio de Fase Ib ALICE-2 en combinación con venetoclax y azacitidina en LMA en primera línea. En la reunión anual de 2025 de la American Society of Hematology (ASH) se presentaron datos preliminares muy alentadores, que mostraron una tasa de respuesta global (ORR) del 100 % y una tasa de remisión completa (RC) estricta del 90 %. Otros estudios incluyen el ensayo FRIDA, esponsorizado por la compañía, que evalúa iadademstat en combinación con gilteritinib en LMA con mutación FLT3 en recaída o refractaria, para el que también se presentaron datos preliminares positivos en ASH-2025, así como varios ensayos realizados en el marco de un Acuerdo de Investigación y Desarrollo Cooperativo (CRADA) con el Instituto Nacional del Cáncer de EE.UU. en LMA en primera línea, neoplasias mieloproliferativas y cáncer de pulmón de células pequeñas, además de estudios iniciados por investigadores en síndrome mielodisplásico y cáncer de pulmón de células pequeñas. Asimismo, la compañía está llevando a cabo un ensayo clínico que evalúa iadademstat en anemia falciforme.

Sobre Oryzon

Fundada en el año 2000 en Barcelona, España, Oryzon es una compañía biofarmacéutica de fase clínica y líder europea en epigenética, con un fuerte enfoque en medicina personalizada para enfermedades del sistema nervioso central (SNC) y oncología. El equipo de Oryzon está compuesto por profesionales altamente cualificados de la industria farmacéutica, con base en Barcelona, Boston y New Jersey. Oryzon tiene una cartera clínica avanzada, centrada en dos inhibidores de LSD1: vafidemstat, su programa principal en SNC, listo para Fase III; y iadademstat, su programa en oncología/hematología, con varios estudios en curso de Fase I y II y resultados preliminares muy positivos en leucemia mieloide aguda en primera línea, incluyendo una tasa de respuesta global (ORR) del 100% presentada en ASH 2025. Además, la Compañía tiene otros programas dirigidos contra otras dianas epigenéticas, como HDAC6, donde ORY-4001 ha sido nombrado como candidato clínico para su potencial desarrollo para la enfermedad de Charcot-Marie-Tooth (CMT) y esclerosis lateral amiotrófica (ELA). La compañía posee también una sólida plataforma para la identificación de biomarcadores y validación de dianas terapéuticas 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 Salameró 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 Salameró et al., comunicación oral ASH-2022 y The Lancet Haematology, 2024, 11(7):e487-e498). Iadademstat está siendo evaluado actualmente en combinación con azacitidina y venetoclax en LMA en primera línea en un ensayo iniciado por investigador (IIS) patrocinado por OHSU y en combinación con gilteritinib en el ensayo de Fase Ib FRIDA patrocinado por Oryzon en LMA refractaria/en recaída con mutaciones FLT3, con datos preliminares muy alentadores de seguridad y eficacia presentados recientemente en ASH-2025 para ambos estudios: 100% ORR y 90% CR estrictas en LMA en 1L, y 67% CCR (a la dosis en expansión) en LMA R/R. Estudios adicionales en marcha en hemato-oncología incluyen un ensayo IIS en síndrome mielodisplásico, y ensayos en neoplasias mieloproliferativas y en LMA en 1L, ambos patrocinados por el Instituto Nacional del Cáncer (NCI) de EEUU en el marco de un Acuerdo de Cooperación en Investigación y Desarrollo (CRADA) firmado entre Oryzon y NCI. 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 dos ensayos en CPCP: un ensayo de Fase I/II aleatorizado en primera línea en combinación con ICI patrocinado por NCI y liderado por el Memorial Sloan Kettering Cancer Center y un ensayo IIS en primera/segunda línea en combinación con ICI y radioterapia. Asimismo, Oryzon ha expandido el desarrollo clínico de Iadademstat a indicaciones hematológicas no oncológicas, con ensayos en anemia falciforme (estudio aprobado por la EMA, reclutando) y trombocitemia esencial (aprobado por la EMA). 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