



27 de febrero de 2026 • Nota de prensa

ORYZON anuncia sus resultados y avances en el cuarto trimestre de 2025

- Las inversiones en I+D alcanzan los 12,6 M€, lo que supone un incremento del 50% (4,2 M€) respecto a los 8,4 M€ invertidos en el ejercicio precedente
- El resultado neto mejora en 1,0 M€ con respecto al cierre del cuarto trimestre del ejercicio precedente, situándose en una pérdida de 2,6 M€ frente a 3,6 M€ recogida en diciembre de 2024
- El estado de ingresos y gastos reconocidos que recoge el resultado de la cuenta de pérdidas y ganancias, y los resultados imputados directamente al patrimonio neto, presenta 2,6 M€ de superávit (beneficio) en el año 2025, frente a 3,1 M€ de déficit (pérdida) del ejercicio 2024
- Al cierre del cuarto trimestre de 2025 el efectivo y las inversiones financieras disponibles ascienden a 28,4 M€

MADRID, ESPAÑA y CAMBRIDGE, EEUU, 27 de febrero de 2026 - Oryzon Genomics S.A., compañía biofarmacéutica de fase clínica y líder global en epigenética, ha anunciado hoy sus resultados y avances en el cuarto trimestre de 2025.

“Tras asegurar más de 60 millones de dólares en el primer semestre de 2025, lo que marca un claro punto de inflexión financiero para Oryzon, cerramos el año con una sólida posición de caja de 33,3 millones de dólares (28,4 millones de euros)”, ha comentado el Dr. Carlos Buesa, CEO de Oryzon. “Esta sólida posición financiera nos permite reforzar nuestro enfoque en los principales hitos regulatorios de nuestros dos programas: oncología y SNC.”

“En oncología-hematología, iademstat sigue recibiendo una fuerte validación externa, con siete ensayos en curso, seis de ellos esponsorizados por el NCI o por instituciones líderes en EE.UU., incluido el estudio más reciente esponsorizado por la Universidad de Yale”, ha añadido el Dr. Buesa. “En LMA en primera línea, la triple combinación ha mostrado hasta la fecha una tasa de respuesta global del 100%, sin toxicidades limitantes de dosis, lo que pone de relieve un perfil altamente competitivo entre los regímenes tripletes emergentes. El ensayo continúa reclutando a buen ritmo y planeamos presentar datos de 15-16 pacientes en el congreso de la Asociación Europea de Hematología (EHA) en junio. Esto representaría aproximadamente un 75 % del reclutamiento total previsto, proporcionando una evaluación intermedia muy relevante de eficacia y seguridad. También están surgiendo resultados alentadores en síndrome mielodisplásico y neoplasias mieloproliferativas”.

“En anemia de células falciformes, estamos avanzando iadademstat hacia lo que creemos que representa un nuevo paradigma para la industria farmacéutica - terapias de precio medio dirigidas a amplias poblaciones de pacientes. Se han reclutado las dos primeras cohortes del ensayo RESTORE y esperamos comunicar datos relevantes más adelante este año”.

“En SNC, hemos reforzado aún más nuestras capacidades médicas y regulatorias con el nombramiento del reconocido Director Médico, el Dr. Rolando Gutiérrez, quien aporta una amplia experiencia en el ámbito de la psiquiatría, para liderar el programa vafidemstat en las últimas fases de desarrollo clínico e interacciones regulatorias, particularmente con la FDA”, ha continuado el Dr. Buesa. “Se espera que las conversaciones con la Agencia continúen en los próximos meses, y la Compañía prevé volver a presentar el protocolo de Fase III antes de final de año, en línea con los plazos regulatorios habituales. Al mismo tiempo, seguimos avanzando nuestros programas en esquizofrenia y autismo”.

EVOLUCIÓN DEL NEGOCIO

Cuarto trimestre y otros destacados recientes

iadademstat:

- Se presentaron datos preliminares muy alentadores del ensayo clínico de Fase Ib ALICE-2 en curso de iadademstat en combinación con venetoclax y azacitidina en pacientes con leucemia mieloide aguda (LMA) de nuevo diagnóstico en la Reunión Anual de la American Society of Hematology (ASH), celebrada en diciembre de 2025. La combinación triple de iadademstat con venetoclax y azacitidina alcanzó una tasa de respuesta global (ORR) del 100 % (n=10), con un 90 % de los pacientes logrando una remisión completa (RC) estricta. El 70 % de los pacientes pasó a trasplante alogénico de células madre hematopoyéticas (TCMH). La mediana de supervivencia global (SG) no se alcanzó y la tasa de SG a 6 meses fue del 66 %. El tratamiento con iadademstat en combinación con venetoclax y azacitidina fue seguro y bien tolerado, con un perfil de acontecimientos adversos similar al de otras terapias combinadas en el contexto de LMA de nuevo diagnóstico. El ensayo continúa reclutando pacientes en el nivel de dosis 2 (DL2). Este estudio iniciado por investigador (IIS por sus siglas en inglés) está liderado por el Knight Cancer Institute de la Oregon Health & Science University (OHSU), y prevé reclutar hasta 24 pacientes para alcanzar 21 pacientes evaluables. La compañía planea una nueva actualización de datos en el congreso de la European Hematology Association (EHA) en junio de 2026.
- También se presentaron resultados preliminares positivos en ASH-2025 del ensayo clínico abierto, multicéntrico de Fase Ib FRIDA de iadademstat en combinación con gilteritinib en pacientes con LMA en recaída o refractaria (R/R) con mutación FLT3 (FLT3mut+). La comunicación presentada en ASH incluía datos de 37 pacientes, con 4 cohortes de niveles de dosis evaluadas en la fase de escalado. Todas las dosis evaluadas en la fase de escalado fueron seguras según los criterios de toxicidad limitante de dosis (DLT). En el momento del corte de datos, el estudio se encontraba en la fase de expansión a una dosis

farmacológicamente activa seleccionada, con un total de 17 pacientes reclutados en ese nivel de dosis. La actividad preliminar en la dosis en expansión mostró una tasa de RC compuesta (CCR) del 67% (10/15 pacientes) y una tasa de RC+RCh del 47% (7/15) en 15 pacientes evaluables para respuesta, lo que compara favorablemente con los resultados del ensayo ADMIRAL (RC+RCh 34%), especialmente teniendo en cuenta la práctica clínica actual, en la que muchos pacientes (47%) tratados a esta dosis habían fracasado previamente a venetoclax, una población con una respuesta marcadamente reducida a la monoterapia con gilteritinib. Cuatro pacientes fueron sometidos a TCMH. El ensayo ha completado el reclutamiento y la compañía planea presentar datos actualizados en EHA-2026.

- Se ha iniciado el reclutamiento de pacientes en un nuevo ensayo de Fase Ib de iadademstat en combinación con un inhibidor de puntos de control inmunitario y radioterapia en cáncer de pulmón de células pequeñas en estadio extenso (CPCP-EE). El estudio, esponsorizado y llevado a cabo por la Universidad de Yale, es un estudio de Fase Ib, abierto y no aleatorizado, que evaluará la seguridad, tolerabilidad y eficacia de iadademstat en combinación con atezolizumab y radioterapia corporal estereotáctica (SBRT), seguido de un tratamiento de mantenimiento con atezolizumab e iadademstat en pacientes con CPCP-EE residual, progresivo o recurrente que hayan recibido previamente quimioterapia basada en platino, con o sin tratamiento con inhibidores de puntos de control inmunitario.
- El reclutamiento también ha continuado de forma activa en los ensayos adicionales en curso con iadademstat, realizados en el marco de un Acuerdo de Investigación y Desarrollo Cooperativo (CRADA, por sus siglas en inglés) con el National Cancer Institute (NCI) de EE.UU. en LMA en primera línea, neoplasias mieloproliferativas y CPCP, así como en un estudio promovido por investigador en síndrome mielodisplásico.
- Más allá de la oncología, Oryzon ha ampliado la evaluación clínica de iadademstat a trastornos hematológicos no malignos, con un primer ensayo en anemia de células falciformes. Este ensayo multicéntrico, abierto, de Fase Ib, denominado RESTORE (*REgulation of Sickling ThrOugh Reprogramming Epigenetics*), evaluará la seguridad y la tolerabilidad de iadademstat en pacientes adultos con anemia de células falciformes, y determinará su dosis recomendada para Fase II (RP2D), además de evaluar el efecto de iadademstat en la inducción de la expresión de hemoglobina fetal (HbF). El aumento de HbF ya ha sido reconocido por la FDA como un criterio de valoración clínicamente relevante para el tratamiento de la anemia de células falciformes. El ensayo está reclutando pacientes de forma activa, con las dos primeras cohortes ya incluidas. El estudio se lleva a cabo en varios centros en España y prevé incluir aproximadamente 40 pacientes adultos.
- Oryzon tiene previsto iniciar un ensayo clínico para evaluar iadademstat en trombocitemia esencial (TE) tras la reciente aprobación del estudio por parte de la Agencia Europea de Medicamentos (EMA). El estudio, denominado IDEAL (*IaDademstat treatment for Essential thrombocythemia*), es un ensayo de Fase II multicéntrico, abierto y de un solo brazo, que se llevará a cabo en España en pacientes adultos con TE resistentes o intolerantes a la hidroxiurea. Los objetivos primarios del estudio son evaluar la seguridad y tolerabilidad de

iadademstat, así como determinar su eficacia en la reducción del porcentaje de pacientes adultos con TE que presentan recuentos plaquetarios anómalos. Entre los objetivos secundarios se incluyen la evaluación de la tasa de respuesta hematológica clínica duradera (DCHR), la confirmación del perfil farmacocinético y farmacodinámico de iadademstat en pacientes con TE, y la evaluación de la duración de las remisiones hematológicas (DHR).

- Oryzon ha reforzado recientemente su cartera de patentes para iadademstat, con una comunicación de “Decisión de concesión” por parte de la Oficina de Patentes de Japón para su solicitud titulada “Combinaciones de iadademstat para terapia contra el cáncer”, relativa a su uso en combinación con inhibidores de PD1 o PD-L1. Una vez concedida formalmente, esta patente permanecerá en vigor al menos hasta 2040, sin incluir posibles extensiones del plazo de protección. Patentes correspondientes ya han sido concedidas o aprobadas en Europa, Australia y Rusia, y hay solicitudes adicionales en trámite en otros países.

Vafidemstat:

- Oryzon continúa avanzando el ensayo de Fase III PORTICO-2 con vafidemstat en agresividad en Trastorno Límite de la Personalidad (TLP) tras recibir comentarios por escrito de la FDA, que incluían indicaciones sobre los criterios de valoración del estudio y ciertas consideraciones no clínicas. En preparación para la presentación del protocolo revisado a la FDA y en línea con las recomendaciones de la Agencia, la Compañía está llevando a cabo diversas actividades, entre ellas una investigación cualitativa para generar evidencias adicionales sobre la validez conceptual y adecuación de ciertas escalas clínicas propuestas como criterios de valoración.
- Con el objetivo de seguir reforzando su estrategia y ejecución clínica, Oryzon ha nombrado al Dr. Rolando Gutierrez-Esteinou como Director Médico para los programas de SNC. El Dr. Gutierrez-Esteinou, psiquiatra formado en Harvard y ejecutivo con amplia experiencia en desarrollo clínico, cuenta con más de 20 años de liderazgo en el desarrollo de fármacos en neurociencia y psiquiatría, incluyendo la supervisión de ensayos clínicos en fases avanzadas y estrategia global de desarrollo. Más recientemente, desempeñó el cargo de Director Médico en Atai Life Sciences. Aporta una sólida experiencia en llevar a cabo estudios pivotaes para terapias innovadoras en SNC, reforzando el liderazgo médico de la Compañía en su progreso de vafidemstat hacia la Fase III de desarrollo clínico.
- Oryzon está completando los preparativos para un nuevo ensayo de Fase II para evaluar vafidemstat en el tratamiento de la agresividad en pacientes con trastorno del espectro autista (TEA). Este ensayo, denominado HOPE-2, prevé incluir subpoblaciones de TEA definidas genéticamente, como individuos con el síndrome de Phelan-McDermid (PMS), y se llevará a cabo inicialmente en España como parte de las actividades respaldadas por la iniciativa europea IPCEI Med4Cure.
- El ensayo clínico de Fase IIb EVOLUTION con vafidemstat en pacientes con esquizofrenia ha continuado reclutando pacientes. Este estudio tiene como objetivo evaluar la eficacia de vafidemstat, centrado principalmente en la mejora de los síntomas negativos. Como objetivos secundarios el ensayo explorará la eficacia de vafidemstat para mejorar el

deterioro cognitivo y síntomas positivos de la esquizofrenia. Inicialmente realizado únicamente en España, el estudio se está expandiendo ahora a países adicionales de la Unión Europea.

- Oryzon ha seguido reforzando su cartera de patentes para vafidemstat, con una nueva comunicación de “Decisión de concesión” por parte de la Oficina de Patentes de Japón. Las reivindicaciones aprobadas cubren el uso de vafidemstat para el tratamiento de la agresividad y el retraimiento social. Una vez concedida formalmente, esta patente permanecerá en vigor al menos hasta 2038, sin incluir posibles extensiones del plazo de protección, que podrían proporcionar años adicionales de protección. Se han concedido o aprobado ya patentes adicionales de esta familia en Europa, Australia, Canadá, Hong Kong, Israel, Corea, Malasia, Filipinas y Rusia, y hay solicitudes en trámite en otros países.

Programas en fases más tempranas:

- ORY-4001, el inhibidor altamente selectivo de la deacetilasa de histonas 6 (HDAC-6) de Oryzon nominado como candidato a desarrollo clínico para el tratamiento de ciertas enfermedades neurológicas como la enfermedad de Charcot Marie-Tooth (CMT), la esclerosis lateral amiotrófica (ELA) y otras, sigue avanzando en los estudios IND pre-regulatorios que permitirán preparar el compuesto para estudios clínicos.

Información financiera del cuarto trimestre de 2025

Significativo incremento del 50% de las inversiones en I+D a 31 de diciembre de 2025 que han ascendido a 12,6 M€, de las cuales 11,6 M€ corresponden a actividades de desarrollo y 1,0 M€ a actividades de investigación.

Oryzon rompe su tendencia y presenta 2,6 M€ de superávit (beneficio) en el estado de ingresos y gastos reconocidos¹, al reconocer 5,2 M€ de subvenciones netas de efecto impositivo, frente a 3,1 M€ de déficit (pérdida) del ejercicio 2024.

El resultado neto al cierre del cuarto trimestre de 2025 se sitúa en -2,6 M€ frente al cuarto trimestre del ejercicio precedente de -3,6 M€, lo que supone una mejora de 1,0 M€ con respecto al cierre del cuarto trimestre del ejercicio precedente.

A 31 de diciembre de 2025, Oryzon mantiene efectivo e inversiones financieras disponibles por importe de 28,4 M€.

El balance a 31 de diciembre de 2025 presenta un patrimonio neto de 117,8 M€, lo que representa un incremento de un 33,7% con respecto al ejercicio precedente.

¹ El estado de ingresos y gastos reconocidos recoge el resultado de la cuenta de pérdidas y ganancias, y los resultados imputados directamente al patrimonio neto



En el pasivo corriente del balance, epígrafe otros pasivos financieros, se presentan 6,5 M€, de los cuales 5,8 M€ corresponden al reconocimiento de financiación anticipada relativa a la parte de subvención IPCEI que se encuentra pendiente de ejecución, y en su caso, su importe será traspasado a patrimonio neto en el momento de su ejecución.

CUENTA DE RESULTADOS DEL CUARTO TRIMESTRE DE 2025²

	Diciembre 2025	Diciembre 2024
OPERACIONES CONTINUADAS		
Trabajos realizados por la empresa para su activo	10.934.442	7.358.765
Aprovisionamientos	(282.493)	(302.189)
Consumo de materiales y mercaderías	(282.493)	(302.189)
Otros ingresos de explotación	716.076	134.345
Ingresos accesorios y otros de gestión corriente	5.093	79.145
Subvenciones de explotación incorporadas al resultado del ejercicio	710.983	55.200
Gastos de personal	(4.523.698)	(3.447.087)
Sueldos, salarios y asimilados	(2.995.246)	(2.804.847)
Cargas sociales	(620.847)	(551.530)
Provisiones	(907.605)	(90.710)
Otros gastos de explotación	(12.418.362)	(8.098.484)
Servicios exteriores	(12.385.922)	(8.066.737)
Tributos	(32.440)	(31.747)
Amortización del inmovilizado	(133.906)	(147.749)
Excesos de provisiones	-	79.435
Deterioro y resultado por enajenaciones del inmovilizado	(2.364)	-
Resultados por enajenaciones y otros	(2.364)	-
RESULTADO DE EXPLOTACIÓN	(5.710.305)	(4.422.964)
Ingresos financieros	713.275	203.721
De valores negociables y otros instrumentos financieros	713.275	203.721
De terceros	713.275	203.721
Gastos financieros	(608.342)	(1.226.724)
Por deudas con terceros	(608.342)	(1.226.724)
Variación de valor razonable en instrumentos financieros	(45.662)	51.588
Valor razonable con cambios en pérdidas y ganancias	(45.662)	51.588
Diferencias de cambio	52.543	(89.340)
RESULTADO FINANCIERO	111.814	(1.060.755)
RESULTADO ANTES DE IMPUESTOS	(5.598.491)	(5.483.719)
Impuestos sobre beneficios	2.993.022	1.905.896
RESULTADO DEL EJERCICIO	(2.605.469)	(3.577.823)

² Cuenta de resultados auditadas a 31 de diciembre de 2025 con cifras comparables a 31 de diciembre de 2024.



BALANCE A 31 DE DICIEMBRE DE 2025³

ACTIVO	31.12.2025	31.12.2024
ACTIVO NO CORRIENTE	113.857.139	101.098.250
Inmovilizado intangible	109.218.093	98.225.332
Desarrollo	109.031.963	98.002.279
Aplicaciones informáticas	37.563	55.325
Otro inmovilizado intangible	148.567	167.728
Inmovilizado material	380.095	355.567
Instalaciones técnicas y otro inmovilizado material	380.095	355.567
Inversiones financieras a largo plazo	125.519	127.365
Otros activos financieros	125.519	127.365
Activos por impuesto diferido	4.133.432	2.389.986
ACTIVO CORRIENTE	30.666.917	8.747.817
Existencias	3.731	2.978
Materias primas y otros aprovisionamientos	3.731	2.978,0
Deudores comerciales y otras cuentas a cobrar	2.202.744	3.019.473
Deudores varios	106.574	729.836
Activos por impuesto corriente	1.270.626	1.742.371
Otros créditos con las Administraciones Públicas	825.544	547.266
Inversiones financieras a corto plazo	14.583	-
Otros activos financieros	14.583	-
Periodificaciones a corto plazo	91.934	106.795
Efectivo y otros activos líquidos equivalentes	28.353.925	5.618.571
Tesorería	25.353.925	5.618.571
Otros activos líquidos equivalentes	3.000.000	-
TOTAL ACTIVO	144.524.056	109.846.067

³ Balance auditado a 31 de diciembre de 2025 con cifras comparables a 31 de diciembre de 2024.

PATRIMONIO NETO Y PASIVO	31.12.2025	31.12.2024
PATRIMONIO NETO	117.849.048	88.172.040
Fondos propios	105.448.753	81.002.080
Capital	3.994.385	3.289.083
Capital suscrito	3.994.385	3.289.083
Prima de emisión	132.162.288	100.714.744
Reservas	(4.086.604)	(2.764.934)
Legal y estatutarias	47.182	47.182
Otras reservas	(4.133.786)	(2.812.116)
(Acciones y participaciones en patrimonio propias)	(5.809.164)	(2.030.129)
Resultados de ejercicios anteriores	(18.206.683)	(14.628.862)
(Resultados negativos de ejercicios anteriores)	(18.206.683)	(14.628.862)
Resultado del ejercicio	(2.605.469)	(3.577.822)
Subvenciones, donaciones y legados recibidos	12.400.295	7.169.960
PASIVO NO CORRIENTE	10.908.829	9.935.201
Provisiones a largo plazo	19.727	90.710
Obligaciones por prestaciones a largo plazo al personal	-	90.710
Otras provisiones	19.727	-
Deudas a largo plazo	6.755.670	7.454.505
Deuda con entidades de crédito	3.073.546	3.221.914
Acreedores por arrendamiento financiero	10.467	34.371
Otros pasivos financieros	3.671.657	4.198.220
Pasivos por impuesto diferido	4.133.432	2.389.986
PASIVO CORRIENTE	15.766.179	11.738.826
Provisiones a corto plazo	1.099.514	-
Deudas a corto plazo	11.004.180	8.808.947
Obligaciones y otros valores negociables	-	3.143.307
Deuda con entidades de crédito	4.526.962	4.780.852
Acreedores por arrendamiento financiero	23.904	22.699
Derivados	-	50.079
Otros pasivos financieros	6.453.314	812.010
Acreedores comerciales y otras cuentas a pagar	3.660.736	2.877.934
Proveedores	2.753.077	2.126.269
Personal (remuneraciones pendientes de pago)	533.565	445.186
Otras deudas con las Administraciones Públicas	374.094	306.479
Periodificaciones a corto plazo	1.749	51.945
TOTAL PATRIMONIO NETO Y PASIVO	144.524.056	109.846.067

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 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 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.

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 (estudio de Fase III en



preparación). Vafidemstat está siendo investigado también en un ensayo de Fase IIb doble ciego, randomizado, controlado por placebo en síntomas negativos de la esquizofrenia (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.

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