

2 de junio de 2026 • Nota de prensa

ORYZON inicia el reclutamiento de pacientes en el ensayo de Fase II IDEAL de iadademstat en trombocitemia esencial

MADRID, ESPAÑA y CAMBRIDGE, EEUU, 2 de junio de 2026 - Oryzon Genomics S.A., compañía biofarmacéutica de fase clínica y líder global en epigenética, ha anunciado hoy la inclusión del primer paciente en IDEAL, su estudio de Fase II que evalúa iadademstat en pacientes con trombocitemia esencial (TE).

IDEAL (*tratamiento con laDademstat para la trombocitemia EsenciAL*) es un estudio multicéntrico de Fase II, de un solo brazo, que se está llevando a cabo en España en pacientes adultos con TE resistentes o intolerantes a hidroxiurea. El estudio está diseñado para evaluar la seguridad, tolerabilidad y actividad clínica de iadademstat, incluyendo su eficacia para reducir el porcentaje de pacientes adultos con TE que presentan recuentos plaquetarios anormales. Iadademstat se administrará durante un máximo de 24 semanas, con un periodo adicional de extensión de 24 semanas disponible para aquellos pacientes que se beneficien del tratamiento.

El Dr. Carlos Buesa, CEO de Oryzon, ha comentado, “El reclutamiento del primer paciente en IDEAL representa otro importante hito en la expansión continuada de la franquicia de iadademstat. Durante los últimos dos años, hemos ampliado significativamente el desarrollo clínico de iadademstat en neoplasias hematológicas, tumores sólidos y hematología no oncológica, generando un número creciente de catalizadores clínicos en múltiples áreas terapéuticas. Creemos que la trombocitemia esencial representa una oportunidad atractiva para explorar el potencial terapéutico de la inhibición de LSD1 en una enfermedad mieloproliferativa crónica en la que siguen siendo necesarias nuevas opciones de tratamiento.”

“Este hito llega además en un momento especialmente relevante para el programa de iadademstat, ya que la próxima semana se presentarán en EHA resultados actualizados del estudio ALICE-2 en leucemia mieloide aguda (LMA) en primera línea”, ha añadido el Dr. Buesa. “Los datos comunicados hasta la fecha han mostrado una eficacia muy prometedora, con un 100% de respuestas y elevadas tasas de remisión completa, y esperamos con interés la presentación de la próxima semana con una cohorte más amplia de pacientes. Creemos que ALICE-2 continúa respaldando el potencial de iadademstat como un componente diferencial del tratamiento de la LMA de primera línea y pone de manifiesto los avances que estamos logrando en nuestra cartera de desarrollo en hematología.”

La Dra. Ana Limón, Vice-presidenta Senior de Desarrollo Clínico y Asuntos Médicos Globales de Oryzon ha añadido, “IDEAL nos permitirá evaluar no solo los efectos clínicos de iadademstat sobre el recuento plaquetario y las respuestas hematológicas, sino también caracterizar con mayor profundidad el impacto biológico de la inhibición de LSD1 en esta enfermedad. Creemos que el estudio puede aportar información relevante sobre el potencial papel de iadademstat en el espectro de los trastornos mieloproliferativos.”



La trombocitemia esencial es la neoplasia mieloproliferativa más frecuente y se caracteriza por un aumento persistente del recuento de plaquetas y un mayor riesgo de complicaciones trombóticas. 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 nuevas opciones terapéuticas.

Los datos preclínicos y clínicos respaldan el papel de la inhibición de LSD1 en la regulación de la maduración de los megacariocitos y la producción de plaquetas, proporcionando una sólida base científica para la evaluación de iadademstat en TE.

Más allá de la TE, iadademstat continúa avanzando en un amplio programa de desarrollo clínico en neoplasias hematológicas, tumores sólidos y hematología no oncológica. Los datos actualizados del estudio ALICE-2, aceptados para su presentación en EHA 2026, mostraron una tasa de respuesta global (ORR) del 100%, una tasa de remisión completa compuesta (CRc) del 93% y una tasa de remisión completa estricta (CR) del 79% en el momento de corte de datos para el abstract en pacientes con LMA de primera línea tratados con la combinación triplete de iadademstat, azacitidina y venetoclax. Asimismo, los datos actualizados del estudio FRIDA, que evalúa iadademstat en combinación con gilteritinib en pacientes con LMA con mutación FLT3 en recaída o refractaria, mostraron un perfil de seguridad favorable y una tasa de CRc del 67% en una población de pacientes intensamente pretratada. Resultados clínicos actualizados de ambos estudios se presentarán en el Congreso EHA 2026 la próxima semana.

Oryzon también continúa avanzando el ensayo RESTORE, que evalúa iadademstat en anemia falciforme, y hay en marcha estudios adicionales llevados a cabo en el marco del Acuerdo de Investigación y Desarrollo Cooperativo (CRADA) con el National Cancer Institute (NCI) de EE.UU., así como estudios promovidos por investigadores en neoplasias mieloproliferativas, síndrome mielodisplásico y cáncer de pulmón de células pequeñas.

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: iadademstat, su programa en oncología/hematología, con varios estudios en curso de Fase I y II y que ha mostrado resultados preliminares positivos en leucemia mieloide aguda (LMA), incluyendo una tasa de respuesta global (ORR) del 100% en LMA en primera línea; y vafidemstat, su programa principal en SNC, listo para Fase III en Trastorno Límite de la Personalidad. 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), esclerosis lateral amiotrófica (ELA) y otras enfermedades neurológicas. 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 un inhibidor oral y altamente selectivo de la enzima epigenética LSD1, con un potente efecto diferenciador en cánceres hematológicos. 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). iadademstat está siendo evaluado actualmente en combinación con azacitidina y venetoclax en LMA en primera línea en un ensayo iniciado por investigador (IIS) esponsorizado por OHSU, y en combinación con gilteritinib en el ensayo de Fase Ib FRIDA esponsorizado por Oryzon en LMA refractaria/en recaída con mutaciones FLT3, con datos preliminares muy alentadores de seguridad y eficacia en ambos estudios: 100% de tasa de respuesta global (ORR) y 93% de tasa de remisión completa compuesta (CRc), con un 79% de CR estrictas en LMA en 1L, y 67% CRc en LMA FLT3+ R/R. Estudios adicionales en marcha en hemato-oncología incluyen un ensayo IIS en síndrome mielodisplásico, y ensayos esponsorizados por el Instituto Nacional del Cáncer (NCI) de EEUU en neoplasias mieloproliferativas y en LMA en 1L, que se llevan a cabo en el marco del Acuerdo de Cooperación en Investigación y Desarrollo (CRADA) entre Oryzon y NCI. Más allá de los cánceres hematológicos, iadademstat está siendo evaluado en cáncer de



pulmón de células pequeñas (CPCP) en estadio extenso en un ensayo de Fase I/II aleatorizado en primera línea en combinación con inhibidores de punto de control inmunitario (ICI) esponsorizado por el NCI y liderado por el Memorial Sloan Kettering Cancer Center, y en un ensayo IIS en combinación con ICI y radioterapia. Oryzon ha expandido también el desarrollo clínico de iadademstat a indicaciones hematológicas no oncológicas, con ensayos en marcha en anemia falciforme y trombocitemia esencial. Iadademstat tiene la designación de medicamento huérfano para LMA en EEUU y la UE y para CPCP en EEUU.

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