

ORYZON Presenta Datos Clínicos Positivos Actualizados de iadademstat en Leucemia Mieloide Aguda (LMA) en el Congreso Anual 2026 de la Asociación Europea de Hematología

- **En LMA en primera línea (ensayo ALICE-2), iadademstat en combinación con azacitidina y venetoclax mostró elevados niveles de actividad clínica, con una tasa de respuesta global (ORR) del 100% (18/18), una tasa de remisión completa compuesta (CRc) del 89% (16/18) y una tasa de remisión completa (CR) del 78% (14/18), y continuó mostrando un perfil de seguridad favorable**
- **Todos los pacientes con mutaciones en TP53 o en la vía RAS alcanzaron una remisión completa, poniendo de manifiesto la actividad de esta combinación en subgrupos de riesgo adverso definidos genómicamente y su potencial en estas poblaciones**
- **En pacientes con mutación FLT3 en recaída o refractarios (ensayo FRIDA), iadademstat en combinación con gilteritinib continuó mostrando un perfil de seguridad favorable y una elevada tasa CRc del 67%**

MADRID, ESPAÑA y CAMBRIDGE, EEUU, 11 de junio de 2026 - Oryzon Genomics S.A., compañía biofarmacéutica de fase clínica y líder global en epigenética, ha presentado hoy datos clínicos positivos actualizados de dos ensayos clínicos con su inhibidor selectivo de LSD1, iadademstat, en leucemia mieloide aguda (LMA) en el Congreso Anual 2026 de la Asociación Europea de Hematología (EHA).

“Estamos muy satisfechos con la solidez y consistencia sostenidas de los datos procedentes de los ensayos ALICE-2 y FRIDA”, ha comentado Carlos Buesa, CEO de Oryzon Genomics. “Con más del 80% de los pacientes ya reclutados en ALICE-2, el favorable perfil de seguridad y las sólidas señales de eficacia de iadademstat en pacientes con LMA de nuevo diagnóstico no aptos para tratamiento intensivo refuerzan nuestra confianza en esta estrategia de combinación, también en poblaciones de riesgo adverso definidas genómicamente, como los pacientes con mutaciones en TP53 o en la vía RAS. Estos resultados son consistentes con los resultados previos observados en pacientes con mutación TP53 en nuestro ensayo ALICE, donde la combinación de iadademstat y azacitidina duplicó la supervivencia global mediana en comparación con las tasas históricas. A medida que continúe el reclutamiento, esperamos comunicar los

datos finales a finales de año y avanzar hacia un posible ensayo registracional en LMA en primera línea en 2027, enfocado en poblaciones de riesgo adverso”.

Ana Limón, Vicepresidenta Senior de Desarrollo Clínico y Asuntos Médicos Globales de Oryzon, ha añadido: “Históricamente, con azacitidina más venetoclax, un tercio de los pacientes de LMA en primera línea no responde al tratamiento, y el grado de respuesta alcanzado es variable, lo que pone de manifiesto la necesidad de nuevas estrategias basadas en triples combinaciones, especialmente para pacientes sin mutaciones susceptibles de tratamiento dirigido. Los datos, cada vez más maduros, de ambos ensayos continúan reforzando la solidez de la inhibición de LSD1 como estrategia terapéutica añadida al tratamiento estándar en LMA. Además de las elevadas tasas de ORR y CR observadas hasta la fecha en el ensayo ALICE-2, el tratamiento con la triple combinación de iadademstat, azacitidina y venetoclax ha permitido que una elevada proporción de pacientes pueda pasar a trasplante alogénico de células hematopoyéticas (TCH), con el potencial de mejorar la supervivencia a largo plazo. En conjunto, los resultados de seguridad y eficacia observados en ambos ensayos respaldan la continuación de su desarrollo clínico”.

Resumen de los datos

Ensayo clínico de Fase Ib ALICE-2 (NCT06357182) que evalúa iadademstat en combinación con azacitidina y venetoclax en pacientes con LMA de nuevo diagnóstico

- Elevadas tasas de actividad, con una tasa de respuesta global (ORR) del 100% (18/18), una tasa de remisión completa compuesta (CRc) del 89% (16/18) y una tasa de remisión completa (CR) del 78% (14/18).
- Las remisiones completas se producen de forma temprana, la mayoría de ellas durante el primer ciclo de tratamiento.
- Se observó eficacia en distintos grupos de riesgo genómico, incluidos pacientes con mutaciones en TP53 o en la vía RAS y pacientes con cariotipos complejos, todos ellos considerados de riesgo adverso.
- Los pacientes con mutación TP53 (2/2) alcanzaron una remisión completa y mostraron una reducción de la frecuencia alélica de la variante TP53 (del 14% a indetectable y del 22% al 1%, respectivamente).
- Todos los pacientes con mutaciones en la vía RAS (3/3) alcanzaron una remisión completa.
- Tras una mediana de seguimiento de 8 meses, no se habían alcanzado la supervivencia global (OS) mediana ni la supervivencia libre de eventos (EFS) mediana; las tasas estimadas de OS y EFS a 12 meses fueron del 79% y 71%, respectivamente.
- Nueve pacientes pudieron pasar con éxito a TCH, con una tasa estimada de OS a 12 meses del 88%.
- La combinación de iadademstat, azacitidina y venetoclax continúa mostrando un perfil de seguridad favorable.

Ensayo clínico de Fase Ib FRIDA (NCT05546580) que evalúa iadademstat en combinación con gilteritinib en pacientes con LMA en recaída/refractaria con mutación FLT3

- El póster presenta datos de la cohorte de expansión a la dosis farmacológicamente activa seleccionada (PAD; 75 µg de iadademstat); se han reclutado 23 pacientes a esta dosis, de los cuales 18 eran evaluables para respuesta.

- Elevada tasa de CRc del 67% (12/18) en una población intensamente pretratada.
- Iadademstat más gilteritinib, el tratamiento estándar, mostró un perfil de seguridad manejable, sin añadir toxicidad al tratamiento estándar.

Sobre ALICE-2

ALICE-2 (NCT06357182) es un estudio de Fase Ib iniciado por investigador y patrocinado por la Oregon Health & Science University (OHSU) en pacientes con LMA de nuevo diagnóstico. Evalúa el tratamiento con iadademstat en combinación con azacitidina y venetoclax, el tratamiento estándar, en pacientes de nuevo diagnóstico no aptos para tratamiento intensivo. El objetivo primario del estudio es la incidencia de toxicidades limitantes de dosis (DLT). Los objetivos secundarios incluyen medidas de eficacia como la tasa de remisión completa compuesta (CRc: remisión completa [CR] + CR con recuperación hematológica parcial [CRh] + CR con recuperación incompleta [CRi]) y la tasa de respuesta global (ORR: CRc + estado morfológico libre de leucemia [MLFS] + remisión parcial [PR]). El estudio prevé reclutar 24 pacientes para obtener 21 pacientes evaluables.

Sobre FRIDA

FRIDA (NCT05546580) es un estudio clínico de Fase Ib patrocinado por Oryzon que evalúa iadademstat en combinación con gilteritinib para el tratamiento de pacientes con LMA con mutación FLT3 en recaída/refractaria. Los objetivos primarios son la incidencia de acontecimientos adversos emergentes del tratamiento (TEAE) y la determinación de la dosis recomendada para Fase II (RP2D). Los objetivos secundarios incluyen las tasas de respuesta (CR, CRh, CRi, MLFS, CRc), la supervivencia libre de eventos (EFS) y la supervivencia global (OS).

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 vadidemstat, 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) 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 en ambos estudios presentados en EHA-2026: 100% de tasa de respuesta global (ORR) y 89% de tasa de remisión completa compuesta (CRc), con un 78% 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 patrocinados 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) patrocinado 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