

## Oryzon consigue la designación de medicamento Huérfano para ORY-1001 para el tratamiento de la Leucemia Mieloide Aguda por la Agencia Europea del Medicamento

**Barcelona, 15 de Julio, 2013.** Oryzon ha anunciado hoy que ha recibido de la EMA la designación de medicamento Huérfano para ORY-1001, un inhibidor de LSD1 para el tratamiento de la Leucemia Mieloide Aguda.

**Barcelona, 15 de Julio, 2013.** Oryzon ha recibido del Comité para Medicamentos Huérfanos (COMP), que es el responsable dentro de la Agencia Europea del Medicamento (EMA) de revisar las solicitudes para la designación de medicamentos huérfanos, una opinión positiva de designación de ORY-1001 como medicamento huérfano para el tratamiento de la Leucemia Mieloide Aguda (LMA) en la reunión mantenida por el COMP los días 9 a 11 de Julio en Londres

ORY-1001 es un inhibidor extremadamente selectivo de la enzima Demetilasa Especifica de Lisina -1 (LSD1, KDM1), un modulador epigenético que regula la expresión de genes mediante la demetilación específica de ciertos aminoácidos lisina en las histonas. LSD1 forma parte de complejos proteicos implicados en la regulación transcripcional de la cromatina y la desregulación de estos complejos puede desembocar en enfermedades.

ORY-1001 es un inhibidor activo por vía oral a concentraciones subnanomolares que reduce el potencial de las células madre leucémicas, inhibiendo de forma potente su capacidad de formación de colonias, superando el bloqueo de diferenciación en líneas celulares de LMA, induciendo apoptosis e inhibiendo la proliferación de estas células.

ORY-1001 ha superado con éxito los estudios de toxicología regulatorios y esta ahora en listo para entrar en estudios clínicos en humanos de fase I en pacientes con leucemia aguda. Además de en cánceres hematológicos, diversos grupos académicos han publicado trabajos que apuntan a un papel relevante de este mecanismo de acción en ciertos tipos de tumores sólidos.

La designación de medicamento huérfanos esta diseñada para facilitar el desarrollo de tratamientos de enfermedades poco frecuentes que suponen un riesgo para la vida del paciente o que son muy graves y para las que no existen tratamientos disponibles. Si estos existen el nuevo fármaco ha de acreditar mejoras significativas para el paciente. En la Unión Europea (UE), se define una enfermedad como rara si afecta a menos de 5 personas de entre 10,000 en la UE.

La designación de ORY-1001 supone el reconocimiento del racional científico de esta aproximación para el tratamiento de esta mortal enfermedad pero además proporciona a ORYZON como sponsor del fármaco ciertas ventajas como:

- Exclusividad de Mercado: Durante 10 años tras la autorización de comercialización, los medicamentos se benefician de una exclusividad en el mercado por la que productos directamente competidores no pueden comercializarse
- Asistencia Regulatoria y Consejo científico gratuito. Esto ayuda a las pequeñas empresas como ORYZON a maximizar sus posibilidades de obtener la aprobación del fármaco
- Reducciones de tasas que se aplican a actividades como ayuda en los protocolos, inspecciones o la solicitud de autorización del fármaco
- Obtención de ayudas y subvenciones a proyectos de investigación relacionados

La Leucemia Mieloide Aguda (LMA) es un cáncer de la sangre originado por las células hematopoyéticas del linaje mieloide. La mayoría de los pacientes de LMA fallecen por la progresión de la enfermedad tras una recaída que se asocia a una subfracción de células leucémicas llamadas células madre leucémicas (LSC). La terapia actual se dirige a células cancerosas de rápida proliferación y a no a las LSC que son más resistentes a los fármacos. Por esta razón la industria farmacéutica está haciendo un serio esfuerzo en desarrollar nuevos medicamentos que se dirijan selectivamente a las LSC sin atacar a los progenitores hematopoyéticos normales. Se ha comprobado que la enzima Demetilasa Específica de Lisina -1 (LSD1, KDM1) es necesaria para mantener el potencial oncogénico de las LSC del tipo MLL-AF9 y este es por tanto una diana prometedor para probar esta aproximación terapéutica.

La Epigenética es un área de gran interés para la industria farmacéutica. Se prevé que los ingresos por terapias epigenéticas alcanzarán los 2700 Millones de USD en 2015 con crecimientos anuales de un 16% entre 2010 y 2015. La actividad de alianzas y licencias en el campo es muy intensa.

Oryzon es el líder global en el campo de las Demetilasa Específica de Lisina. (LSD1 y LSD2). LSD1 se ha propuesto como una diana farmacológica de interés en las áreas de oncología, enfermedades virales y neurodegenerativas. Oryzon tiene un amplio programa de descubrimiento de fármacos con cerca de 900 compuestos y dos candidatos preclínicos. Según Carlos Buesa Director General de Oryzon *"la designación nos ayudará en el desarrollo clínico de nuestro fármaco ya que hemos identificado un subconjunto de enfermedades en las que este mecanismo parece particularmente eficaz. Estamos muy ilusionados con el ensayo del potencial clínico de la inhibición de LSD1 en cánceres hematológicos. Para cualquier compañía que quiera jugar un papel en estas indicaciones somos el socio de elección"*

### Acerca de Oryzon

Fundada en 2000, Oryzon ([www.oryzon.com](http://www.oryzon.com)) teiene una de las más completas plataformas tecnológicas de identificación de biomarcadores en Europa. Con una fuerte especialización en genómica, proteómica y bioinformática, Oryzon identifica biomarcadores en una variedad de enfermedades oncológicas y neurodegenerativas. La compañía dispone de tecnologías como RNAi, microarrays, phage display y una plataforma estructural de genómica con fragment screening (NMR y cristalografía por rayos X).

**For further information, please contact:**

**Emili Torrell**  
**Business Development Officer**  
Tel. +34 93 515 13 13,  
[etorrell@oryzon.com](mailto:etorrell@oryzon.com)