

## Día Mundial de las Enfermedades Raras

# ORYZON reafirma su compromiso con las enfermedades raras con su investigación en leucemia mieloide aguda

- ❖ Su ensayo clínico de Fase II ALICE con iadademstat muestra eficacia en pacientes de edad avanzada con leucemia mieloide aguda
- ❖ Oryzon consiguió en 2013 la designación de iadademstat como medicamento huérfano para LMA por la Agencia Europea del Medicamento
- ❖ Explora también variantes genéticas de autismo y esquizofrenia

**MADRID, España y CAMBRIDGE, EE.UU., 28 de Febrero de 2020** - Oryzon Genomics, S.A., compañía biofarmacéutica de fase clínica centrada en la epigenética para el desarrollo de terapias en enfermedades con importantes necesidades médicas no resueltas, continúa **contribuyendo a la lucha contra las enfermedades raras**, cuyo día mundial se celebra el 29 de febrero, a través de su **investigación sobre la leucemia mieloide aguda (LMA)**.

Oryzon Genomics lleva a sus espaldas una ardua investigación sobre la LMA, una enfermedad con baja prevalencia en la población y dentro de las denominadas enfermedades raras. La compañía tiene en marcha un ensayo clínico de Fase II (estudio ALICE) en LMA con su fármaco iadademstat, un inhibidor de LSD1 selectivo, para el que ya en 2013 consiguió la **designación de medicamento huérfano para el tratamiento de la LMA por la Agencia Europea del Medicamento**. El pasado diciembre Oryzon presentó en la 61ª Conferencia Anual de la Sociedad Americana de Hematología, ASH-2019, en Orlando, Florida, EE.UU. nuevos datos de **ALICE**, que manifestaban eficacia clínica en sus pacientes.

En estos resultados que se presentaron en ASH-2019 se reportaron un elevado número de respuestas positivas objetivas (OR), en 6 de 8 pacientes evaluables (75% OR): de éstas, hubo 2 remisiones completas (CR), 3 remisiones completas con recuperación hematológica incompleta (CRi) y 1 remisión parcial (PR). El tiempo medio de seguimiento entre los pacientes evaluables fue de 20 semanas, con un tiempo medio de respuesta (TTR) de solo 32 días en aquellos pacientes que respondieron. Dos de los 5 pacientes (40%) que habían recibido más de 3 ciclos de tratamiento también se habían vuelto independientes de transfusiones (es decir, no requerían transfusiones periódicas de glóbulos rojos). La compañía prevé realizar una nueva actualización de los resultados de este estudio en la Conferencia de la Asociación Europea de hematología (EHA-2020) que se desarrollará en Frankfurt en el mes de Junio.

ALICE es un estudio de Fase II de un solo brazo que evalúa la seguridad y la eficacia clínica de iadademstat en combinación con el tratamiento estándar de azacitidina en **pacientes ancianos con LMA de primera**

**línea, recién diagnosticados, que no son elegibles para la terapia convencional.** El estudio se está llevando a cabo en varios hospitales españoles.

El compromiso de Oryzon por las enfermedades raras no se circunscribe solo al campo oncológico sino también a las enfermedades neurológicas. Así, la compañía está iniciando la evaluación del posible potencial de su fármaco vafidemstat, un inhibidor de LSD1 optimizado para SNC, como alternativa terapéutica en variantes genéticas raras de autismo y esquizofrenia. Estas posibilidades han sido recientemente puestas de manifiesto por varios estudios independientes de prestigiosas Universidades americanas que han demostrado la eficacia de inhibidores de LSD1 de Oryzon en diversos modelos experimentales de estas subvariantes genéticas, lo que podría suponer una aproximación de medicina de precisión en el campo psiquiátrico que sería la primera en su género.

#### **Sobre Oryzon**

Fundada en 2000 en Barcelona, España, Oryzon es una compañía biofarmacéutica de fase clínica líder europea en Epigenética. Oryzon tiene una de las carteras más fuertes en el sector. El programa LSD1 de Oryzon tiene en la actualidad dos moléculas en ensayos clínicos, vafidemstat y iadademstat. Además, Oryzon cuenta con programas en curso para el desarrollo de inhibidores contra otras dianas epigenéticas. La compañía posee también una fuerte plataforma tecnológica para la identificación de biomarcadores y valida biomarcadores y dianas para una variedad de enfermedades oncológicas y neurológicas. La compañía tiene oficinas en España y EEUU. Para más información, visitar [www.oryzon.com](http://www.oryzon.com)

#### **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.

**EEUU & Europa:**  
**LifeSci Advisors LLC**  
**Hans Herklots**  
+41 79 598 7149  
[hherklots@lifesciadvisors.com](mailto:hherklots@lifesciadvisors.com)

**España:**  
**ATREVIA**  
**Patricia Cobo**  
+34 91 564 07 25  
[pcobo@atrevia.com](mailto:pcobo@atrevia.com)

**Oryzon:**  
**Emili Torrell**  
**BD Director**  
+34 93 515 13 13  
[etorrell@oryzon.com](mailto:etorrell@oryzon.com)