

Oryzon recibe la aprobación para comenzar ETHERAL: un ensayo clínico de Fase IIa con ORY-2001 en enfermedad de Alzheimer (EA)

- ❖ La aprobación ha sido concedida por la Agencia Española del Medicamento
- ❖ Es el segundo estudio de Fase IIa iniciado en enfermedades del Sistema Nervioso con esta molécula
- ❖ La compañía espera comenzar el reclutamiento de pacientes este trimestre
- ❖ Se espera próximamente las aprobaciones de otras agencias europeas para el mismo estudio

MADRID, ESPAÑA y CAMBRIDGE, EEUU, 4 de Abril de 2018 – Oryzon Genomics, compañía biofarmacéutica de fase clínica centrada en la epigenética para el desarrollo de terapias en enfermedades graves para las que no se dispone de tratamientos adecuados, ha anunciado hoy que ha recibido la aprobación para un ensayo clínico (CTA) de la Agencia Española del Medicamento (AEMPS) para llevar a cabo un ensayo de Fase IIa con ORY-2001 en pacientes con enfermedad de Alzheimer (EA).

El estudio, llamado ETHERAL (por sus iniciales inglesas de “Aproximación Epigenética a la **THER**apia en enfermedad de **Alzheimer**”), se llevará a cabo en diferentes hospitales españoles y también británicos y franceses una vez que se reciban las correspondientes aprobaciones de las autoridades regulatorias del Reino Unido y Francia.

ETHERAL está diseñado como un estudio aleatorizado, de doble ciego, controlado de tres brazos paralelos, uno con placebo y dos con dosis activas, de 26 semanas de duración para evaluar la seguridad y tolerabilidad de ORY-2001 en pacientes con enfermedad de Alzheimer en estadio leve y moderado. El estudio reclutará 90 pacientes e incorporará además como objetivos secundarios las diferentes dimensiones que se manifiestan en los pacientes de esta enfermedad, no solo la evolución de la memoria sino también las alteraciones del comportamiento como la agresividad y la desconexión social. En el ensayo se medirán también los niveles de diversos biomarcadores en líquido cefalorraquídeo (LCR). La compañía espera lanzar un estudio gemelo en EEUU en los próximos meses.

En un ensayo reciente de Fase I realizado en 106 voluntarios sanos, el fármaco demostró ser seguro y bien tolerado bajo las condiciones del estudio. No hubo eventos adversos relacionados con el fármaco, ni efectos secundarios significativos ni cambios clínicos detectables. Es importante destacar que en las dosis que se aplicarán en la Fase II no se observaron efectos hematopoyéticos. La penetrancia cerebral se midió en 18 voluntarios, y la inhibición del enzima LSD1 cerebral también se estableció por separado. En la actualidad, la compañía está realizando ya un primer estudio clínico de Fase IIa con ORY-2001 en pacientes con esclerosis múltiple (EM). El estudio, denominado SATEEN, se está llevando a cabo

actualmente en nueve hospitales españoles diferentes, y está diseñado como un estudio aleatorizado, doble ciego, controlado con placebo, de 3 brazos y 36 semanas de grupos paralelos para evaluar la seguridad y tolerabilidad de ORY- 2001 en pacientes con esclerosis múltiple remitente recidivante (EMRR) y esclerosis múltiple progresiva secundaria (SPMS). El primer paciente fue enrolado en Enero de este año.

ORY-2001 es una pequeña molécula oral, que actúa como inhibidor dual de LSD1-MAOB altamente selectivo. La compañía ha presentado recientemente en varias conferencias científicas que ORY-2001 ejerce una acción integral en los diferentes tipos de alteraciones patológicas observadas también en pacientes con EA y otros trastornos neurodegenerativos. Diferentes experimentos sugieren que ORY-2001 actúa como un fármaco modificador de la enfermedad. En pacientes con EA y otros trastornos neurodegenerativos, el deterioro cognitivo a menudo se acompaña de episodios de agitación, agresión, psicosis, apatía y depresión. En estudios preclínicos, ORY-2001 no solo restaura la memoria sino que reduce la agresividad exacerbada de los ratones SAMP8 a niveles normales y también reduce la evitación social en modelos de rata mantenidas en aislamiento. Además, ORY-2001 exhibe una eficacia muy rápida, potente y duradera en varios modelos preclínicos de EM.

Roger Bullock, director médico de Oryzon, comentó: "La aprobación de ETHERAL, el primer ensayo clínico de Fase IIa para un agente epigenético en EA, representa un hito importante para la empresa y la comunidad científica. Los estudios preclínicos validan el potencial de ORY-2001 para tratar los defectos cognitivos y reducir la neuroinflamación al aumentar la plasticidad y la funcionalidad de las neuronas. Este es el primer paso para explorar este enfoque novedoso y hemos elegido estudiar esto en enfermos de EA con estadio leve a moderado, donde creemos que todavía hay espacio fisiológico para hacer una significativa intervención terapéutica, una población de pacientes que ha sido últimamente desatendida por la aproximación de la industria".

Carlos Buesa, presidente y director ejecutivo de Oryzon, comentó: "ORY-2001 es una molécula con un claro potencial de ser modificadora de la enfermedad que actúa sobre los diferentes dominios que se presentan en los enfermos de Alzheimer. Hemos identificado posibles biomarcadores en LCR alterados en EA y que pueden ser modulados por ORY-2001, cuya evolución será medida en el ensayo. Esto abre un importante abanico de posibilidades no solo de una mejor comprensión de la biología de la enfermedad sino también en términos del desarrollo regulatorio del propio fármaco. Esperamos poder comenzar pronto más estudios exploratorios y la compañía sigue comprometida a explorar esta terapia epigenética en otros trastornos neurodegenerativos".

Sobre Oryzon

Fundada en 2000 en Barcelona, España, Oryzon es una compañía biofarmacéutica de fase clínica líder europea en Epigenética. La compañía tiene una de las carteras más fuertes en el sector. El programa LSD1 de Oryzon ha resultado en +20 familias de patentes, y ha dado lugar a dos moléculas en ensayos clínicos. 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 neurodegenerativas. La estrategia de Oryzon es desarrollar compuestos pioneros en su clase basados en la Epigenética hasta completar estudios clínicos de Fase II, decidiendo en ese momento, caso por caso, si continúa su desarrollo a nivel interno u otorga licencias para las últimas fase de desarrollo clínico y la comercialización. La compañía tiene oficinas en España y EEUU. Para más información, visitar www.oryzon.com.

EEUU:**The Trout Group****Thomas Hoffmann**

+1 646 378 2932

thoffmann@troutgroup.com

España:**ATREVIA****Patricia Cobo/Luis Rejano**

+34 91 564 07 25

pcobo@atrevia.com

lrejano@atrevia.com

Corporativo:**Emili Torrell****BD Director**

+34 93 515 13 13

etorrell@oryzon.com

AFIRMACIONES O DECLARACIONES CON PROYECCIONES DE FUTURO

Esta comunicación contiene información y afirmaciones o declaraciones con proyecciones de futuro sobre Oryzon Genomics, S.A. Tales declaraciones incluyen proyecciones y estimaciones financieras con sus presunciones subyacentes, declaraciones relativas a planes, objetivos, y expectativas en relación con operaciones futuras, 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.

En este sentido, si bien Oryzon Genomics, S.A. considera que las expectativas recogidas en tales afirmaciones son razonables, se advierte a los inversores y titulares de las acciones de Oryzon Genomics, S.A. 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 Genomics, S.A., riesgos que podrían 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 enviados por Oryzon Genomics, S.A. a la Comisión Nacional del Mercado de Valores y que son accesibles al público.

Las afirmaciones o declaraciones con proyecciones de futuro 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 Genomics, S.A. Se recomienda no tomar decisiones sobre la base de afirmaciones o declaraciones con proyecciones de futuro. La totalidad de las declaraciones o afirmaciones de futuro reflejadas a continuación emitidas por Oryzon Genomics, S.A. o cualquiera de sus consejeros, 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 disponible a la fecha de esta comunicación. Salvo en la medida en que lo requiera la ley aplicable, Oryzon Genomics, S.A. no asume obligación alguna -aun cuando se publiquen nuevos datos o se produzcan nuevos hechos- de actualizar públicamente sus afirmaciones o revisar la información con proyecciones de futuro.