

## ORYZON anuncia el reclutamiento en EE.UU. del Primer Paciente en ETHERAL-US: un ensayo clínico de Fase IIa con vafidemstat en Enfermedad de Alzheimer

### ❖ En Europa el reclutamiento ya ha sobrepasado los 100 pacientes

**BARCELONA, ESPAÑA y CAMBRIDGE, EEUU, 29 de Mayo de 2019** – Oryzon Genomics, compañía biofarmacéutica de fase clínica centrada en la epigenética para el desarrollo de terapias en enfermedades con importantes necesidades médicas no resueltas, ha anunciado hoy el reclutamiento en EE.UU. del primer paciente en ETHERAL-US, el ensayo clínico de Fase IIa con vafidemstat en pacientes con enfermedad de Alzheimer (EA) en estadio leve y moderado que se lleva a cabo en EE.UU.

ETHERAL-US (por sus siglas en inglés “Epigenetic **T**HERapy in **A**lzheimer’s Disease”) es un estudio complementario al estudio ETHERAL que se está ya realizando en 17 Hospitales europeos de España, Francia y el Reino Unido. ETHERAL es un estudio de Fase IIa aleatorizado, de doble ciego, controlado, de tres brazos paralelos, uno con placebo y dos con dosis activas, de 24 semanas de duración para evaluar la seguridad, tolerabilidad y eficacia preliminar de vafidemstat en pacientes con EA en estadio leve y moderado. El estudio incorpora múltiples objetivos secundarios, entre otros, evaluar el efecto del fármaco sobre la evolución de la memoria y sobre alteraciones del comportamiento como la agresividad, apatía y la desconexión social. En el ensayo se medirán también los niveles de diversos biomarcadores en líquido cefalorraquídeo (LCR).

La *U.S. Food and Drug Administration* (FDA) concedió a mediados de marzo la autorización del IND (*Investigational New Drug application*) para realizar este ensayo clínico ETHERAL-US en EE.UU. Se ha planificado que el brazo europeo del estudio contribuirá con hasta 125 pacientes, de los cuales ya se han aleatorizado más de 100, y el estudio norteamericano prevé incluir hasta unos 30 pacientes, hasta alcanzar los 150 pacientes totales. La fundación filantrópica norteamericana *Alzheimer Drug Discovery Foundation* (ADDF) concedió una ayuda de 1.500.000 dólares para co-financiar ETHERAL-US.

Vafidemstat es una molécula neuroactiva que está siendo explorada también en otras enfermedades del sistema nervioso central (SNC) y psiquiátricas. La compañía ha reportado recientemente los primeros datos de eficacia en humanos de vafidemstat del estudio de Fase IIa REIMAGINE, donde vafidemstat ha reducido la agresividad en pacientes de Trastorno Límite de la Personalidad (TLP) y Trastorno por Déficit de Atención e Hiperactividad adulto (TDAH). Se espera resultados adicionales en agresividad en pacientes con Síndrome del Espectro Autista y también en una cohorte de pacientes de EA dentro del estudio REIMAGINE para finales de año.

Michael Ropacki, Vicepresidente de Desarrollo Clínico de Oryzon, ha declarado: "La comunidad científica y médica de EA está comprometida más que nunca a explorar nuevos medicamentos con novedosos mecanismos de acción para esta enfermedad devastadora y difícil de tratar. El enfoque epigenético de vafidemstat está respaldado por fuertes evidencias preclínicas, así como las recientes señales clínicas

observadas en pacientes que sufren otros tipos de trastornos del SNC, y que refuerzan nuestras esperanzas de ver señales prometedoras en el ensayo ETHERAL".

Carlos Buesa, CEO y fundador de Oryzon, ha manifestado: "La epigenética desempeña un papel importante en una amplia gama de trastornos del SNC. La LSD1 es una diana muy interesante y novedosa para diferentes enfermedades del SNC y Oryzon tiene una posición competitiva única a nivel mundial. Con ETHERAL-US, la compañía está iniciando por primera vez operaciones clínicas en los EE. UU. y esperamos expandir pronto los ensayos clínicos con vafidemstat en los EE.UU. a nuevas indicaciones en el SNC".

### **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. 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 compañía tiene oficinas en España y EEUU. Para más información, visitar [www.oryzon.com](http://www.oryzon.com)

### **Sobre Vafidemstat**

Vafidemstat (ORY-2001) es una pequeña molécula oral, que actúa como inhibidor dual de LSD1-MAOB altamente selectivo. La molécula actúa a diferentes niveles, reduciendo el deterioro cognitivo, la pérdida de memoria y la neuroinflamación, y además ejerce efectos neuroprotectores. En modelos preclínicos vafidemstat restaura el deterioro cognitivo y elimina la agresividad exacerbada de los ratones SAMP8, un modelo de envejecimiento acelerado y Enfermedad de Alzheimer (EA), a niveles normales y también reduce la evitación social e incrementa la sociabilidad en diferentes modelos murinos. Además, vafidemstat ha mostrado una eficacia rápida, potente y duradera en varios modelos preclínicos de esclerosis múltiple (EM). Oryzon ha iniciado estudios clínicos de Fase IIa con vafidemstat en pacientes con EM remitente-recurrente y EM secundaria progresiva (estudio SATEEN), en pacientes con EA leve o moderada (estudio ETHERAL) y en agresividad en pacientes con diferentes enfermedades psiquiátricas y neurodegenerativas (estudio REIMAGINE).

#### **EEUU:**

**Solebury Trout**

**Thomas Hoffmann**

+1 646 378 2931

**thoffmann@troutgroup.com**

#### **España:**

**ATREVIA**

**Patricia Cobo/Idoia Revuelta**

+34 91 564 07 25

**pcobo@atrevia.com**

**irevuelta@atrevia.com**

#### **Oryzon:**

**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. 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.