

## **ORYZON Anuncia Resultados Prometedores de su Ensayo Clínico de Fase I-IIA en Leucemia Aguda de RG6016 (ORY-1001) en el Congreso Internacional de Hematología ASH-2016**

**BARCELONA, ESPAÑA y CAMBRIDGE, EEUU, 6 de Diciembre de 2016** – Oryzon Genomics, compañía biofarmacéutica de fase clínica centrada en la epigenética para el desarrollo de terapias en enfermedades con importantes necesidades médicas no resueltas, anunció ayer resultados prometedores de su ensayo clínico internacional multicéntrico de Fase I con RG6016 (ORY-1001), un inhibidor potente y selectivo de la LSD1, en pacientes con leucemia aguda recurrente o refractaria (EUDRACT nº 2013-002447-29).

El estudio ha alcanzado satisfactoriamente los objetivos primarios y secundarios, obteniéndose además información acerca de la seguridad, farmacocinética (PK) y farmacodinamia (PD) de la molécula que guiarán posteriores estudios clínicos con RG6016 (ORY-1001) en diferentes tipos de cáncer.

RG6016 (ORY-1001) ha demostrado ser bien tolerado tras administrarse a 41 pacientes en total, en un máximo de hasta tres ciclos de tratamiento. El fármaco presenta una elevada biodisponibilidad al ser administrado por vía oral a pacientes con leucemia aguda recurrente o refractaria y muestra excelentes parámetros farmacocinéticos.

En la primera parte del estudio o fase de escalado de dosis, veintisiete sujetos (26 – RR-AML; 1 – RR-ALL) fueron incluidos en 8 cohortes de dosis ascendente. Una vez establecida la dosis recomendada, se incluyó en el estudio una cohorte de extensión (Fase IIA) de 14 pacientes con subtipos específicos de RR-AML previstos como más sensibles según estudios preclínicos previos.

En los pacientes de la extensión se obtuvieron observaciones que apoyan la actividad antileucémica del fármaco. Destacar que en el grupo de pacientes con fusión del gen MLL (n=6), el 67% (4/6) mostró evidencia de diferenciación morfológica de blastos en sangre y/o médula ósea; de estos pacientes, en uno además se observó reducción en blastos medulares, alcanzando una respuesta parcial en médula ósea tras 3 ciclos de tratamiento, y otro paciente presentó desaparición de blastos en sangre y enfermedad estable en médula ósea. Dos de los cuatro pacientes incluidos con subtipo M6 mostraron respuesta parcial en médula ósea. En general, los cuatro pacientes M6 fueron catalogados como enfermedad estable en médula ósea. Asimismo, se han identificado biomarcadores farmacodinámicos (PD) que permitirán monitorizar la respuesta a tratamiento con RG6016 (ORY-1001) en futuros estudios clínicos. Todos los pacientes con fusión del gen MLL con muestras evaluables para análisis por PD mostraron evidencia de diferenciación celular en blastos por análisis mediante qRT-PCR.

“Estamos extremadamente satisfechos con estos resultados de nuestro estudio de Fase I-IIA de ORY-1001, nuestro fármaco es seguro y bien tolerado, y muestra una excelente PK” ha comentado Carlos Buesa, Presidente y CEO de Oryzon Genomics. “Además, estos resultados demuestran que nuestro inhibidor de LSD1 selectivo a la dosis recomendada promueve la diferenciación de blastos en pacientes

individuales. Esto, junto con las respuestas parciales en médula ósea observadas, sugiere que la inhibición de la LSD1 puede ser una terapia para algunos pacientes de AML y apoya futuros ensayos clínicos en cánceres hematológicos y también en tumores sólidos tales como cáncer de pulmón de células pequeñas y otros.”

Estos y otros resultados del estudio con RG6016 (ORY-1001) fueron presentados por Oryzon ayer día 5 de diciembre en el 58th Annual Meeting de la American Society of Hematology (ASH) en San Diego, California, así como durante un almuerzo con inversores y analistas organizado por la empresa en el mismo día. Este evento fue transmitido por Internet y se podrá acceder a una versión archivada del webcast en el sitio web de la compañía en [www.oryzon.com](http://www.oryzon.com).

No obstante, estos datos son todavía preliminares y están pendientes de revisión y análisis final y finalización del correspondiente Informe Final del Estudio o “Clinical Study Report” (CSR en inglés) a principios del 2017. Una vez completado el Informe Final del Estudio los resultados finales se comunicarán en los foros científicos y médicos apropiados.

#### **Sobre RG6016 (ORY-1001)**

RG6016, conocido anteriormente como ORY-1001, es un inhibidor epigenético oral muy potente y selectivo que modula la LSD1, una desmetilasa de histonas que elimina (“borra”) señales en la histona, provocando cambios en la “lectura” de los cromosomas y desactivando genes. Una actividad “borradora” inadecuada puede causar enfermedades. La LSD1 se ha relacionado con varios cánceres como tumores sólidos y cánceres hematológicos. En el ámbito de la leucemia RG6016 afecta a las células madre AML, una subpoblación de células cancerosas que se ha propuesto como responsable de las frecuentes recaídas de la enfermedad. RG6016 también reduce de forma significativa la carga tumoral y aumenta el tiempo de supervivencia en modelos en ratón de leucemia linfoblástica aguda. La inhibición de LSD1 se ha propuesto como una aproximación terapéutica, sola o en combinación, para tratar diversos tumores sólidos tales como el cáncer de pulmón de células pequeñas (SCLC). RG6016 es parte de la colaboración a escala global firmada entre Oryzon y Roche en Abril de 2014.

#### **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 y un compuesto en clínica licenciado a Roche. El programa LSD1 de Oryzon está cubierto por más de 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 Barcelona y Cambridge, Massachusetts. Para más información, visitar [www.oryzon.com](http://www.oryzon.com).

**EEUU:****The Trout Group****Maria Lomaka**

+1 646 378 2932

**mlomaka@troutgroup.com****España:****ATREVIA****Patricia Cobo/Luis Rejano**

+34 91 564 07 25

**pcobo@atrevia.com****lrejano@atrevia.com****Corporativo:****Anna K Baran****IR Director**

+44 (0) 752 1083 006

**abaran@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.