

ORYZON presenta nuevos datos positivos de eficacia del ensayo de iadademstat de Fase IIa ALICE en el congreso de la Asociación Europea de Hematología, EHA-2021

- ❖ Datos de 30 meses del estudio
- ❖ Señales robustas de eficacia clínica, con ORR del 83%, de los cuales el 67% son CR/CRi
- ❖ Cinco pacientes con remisiones superiores al año
- ❖ Remisión más larga de 858 días, todavía en curso
- ❖ Respuestas tempranas y de larga duración
- ❖ La combinación de iadademstat y azacitidina muestra un buen perfil de seguridad

MADRID, ESPAÑA y CAMBRIDGE, EEUU, 11 de Junio de 2021 – 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, presenta hoy nuevos datos positivos de eficacia del ensayo clínico de Fase IIa en curso con iadademstat en leucemia mieloide aguda (LMA), ALICE, en el Congreso Virtual EHA-2021 de la Asociación Europea de Hematología, en una comunicación en formato electrónico titulada *“ALICE MAINTAINS HIGH CLINICAL RESPONSE RATES SUPPORTING THE EFFICACY OF IADADEMSTAT COMBINATION WITH AZACITIDINE IN AML MANAGEMENT”*.

A la fecha de corte de datos incluidos en esta comunicación, se habían enrolado en el estudio 27 pacientes, 26 de los cuales cumplían los criterios de inclusión; de ellos, 18 pacientes eran evaluables para eficacia según protocolo y 2 pacientes más estaban todavía en su primer ciclo. La evidencia de eficacia clínica continúa siendo sólida y consistente con los datos reportados previamente, con una tasa de respuestas objetivas (ORR) del 83% (15 de 18 pacientes evaluables); de estos, el 67% fueron remisiones completas (10 CR/CRi) y el 33% remisiones parciales (5 PR). De entre estas respuestas, destaca la de un paciente con LMA de tipo M5b (un subtipo especialmente agresivo y de mal pronóstico) y con pronóstico genético adverso que alcanzó una CRi en 29 días. El tiempo medio para alcanzar respuesta (TTR) en el ensayo continúa siendo breve (29 días).

Con tasas de respuesta históricas del 28% (19% CR/CRi y 9% PRs) en esta población cuando es tratada solamente con azacitidina, estos resultados sugieren una fuerte sinergia entre iadademstat y azacitidina usados en combinación.

La duración de las respuestas observadas es prolongada, con un 60% de CR/CRi con duraciones de más de 6 meses (un 30% adicional son CR/CRis todavía recientes y en fase de maduración). La remisión más larga a fecha de corte de datos incluidos en este poster de EHA-2021 era de 858 días en un paciente que continua independiente de transfusiones y con enfermedad residual negativa. Otros cuatro pacientes han superado el año de respuesta (tres todavía en respuesta). Los pacientes con períodos de tratamiento más

prolongados también mejoraron o superaron su dependencia de las transfusiones de sangre, con 50% de los pacientes que han alcanzado CR/CRi independientes de trasfusiones.

El Dr. Carlos Buesa, CEO de Oryzon, ha comentado: "Después de 30 meses de estudio y con un número creciente de pacientes, los datos de ALICE son realmente muy positivos, estamos confirmando un porcentaje robusto y elevado de respuestas. Además, son respuestas muy prolongadas en el tiempo, lo que redundará en una mayor supervivencia de los pacientes que responden. Considerando la diferencia de mecanismos de acción entre los inhibidores de BCL2 proapoptóticos y el agente pro-diferenciador iadademstat, creemos que las terapias de combinación con iadademstat podrían aumentar las opciones terapéuticas para los pacientes de LMA de primera línea, así como también para los pacientes refractarios o intolerantes que han recibido inhibidores de BCL2 en primera línea".

La combinación de iadademstat con azacitidina continúa mostrando un buen perfil de seguridad con solo dos eventos adversos serios reportados como probablemente relacionados con el tratamiento. Los eventos más frecuentes continúan siendo el descenso en el recuento plaquetario y de neutrófilos. Más allá del impacto hematológico, esperado de acuerdo con el modo de acción farmacológico y ya reportado anteriormente en ASH-2020 y EHA-2020, la combinación sigue pareciendo segura y bien tolerada por los pacientes de edad avanzada con LMA.

El objetivo del ensayo ALICE es proporcionar información que permita un uso más amplio de iadademstat en la leucemia. ALICE está diseñado como un estudio abierto de un solo brazo de intervención con iadademstat en combinación con el tratamiento estándar azacitidina en pacientes ancianos con LMA recién diagnosticados y se está llevando a cabo en ocho hospitales españoles. El estudio reclutará hasta un máximo de 36 pacientes.

Pueden consultar una copia de la comunicación presentada en EHA-2021 [aquí](#)

Para más información sobre el congreso EHA-2021 pueden visitar la [web de EHA-2021](#)

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 de Fase II, 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. Oryzon es uno de los valores biotecnológicos más líquidos de Europa, con más de 90 millones de acciones negociadas en 2020. Para más información, visitar www.oryzon.com

Sobre iadademstat

Iadademstat (ORY-1001) es una pequeña molécula oral, que actúa como inhibidor altamente selectivo de la enzima epigenética LSD1 y tiene un potente efecto diferenciador en cánceres hematológicos (ver Maes et al., Cancer Cell. 2018 Mar 12;33(3):495-511.e12. doi: 10.1016/j.ccell.2018.02.002.). Un primer estudio clínico de Fase I/IIa con iadademstat en pacientes de leucemia aguda recurrente o refractaria demostró la seguridad y buena tolerabilidad del fármaco y señales preliminares de actividad antileucémica, incluyendo una CRi. Más allá de los cánceres hematológicos, la inhibición de LSD1 se ha propuesto como una aproximación terapéutica válida en ciertos tumores sólidos como el cáncer de pulmón de células pequeñas (CPCP), tumores neuroendocrinos, meduloblastoma y otros. Iadademstat se ha probado en cuatro ensayos clínicos (dos en monoterapia en CPCP y LMA, y dos en combinación, en CPCP y LMA) en más de 100 pacientes. En los estudios de combinación, ALICE (en curso), un estudio de Fase IIa en combinación con azacitidina en pacientes con LMA de edad avanzada y CLEPSIDRA (finalizado), un estudio de Fase IIa en combinación con platino/etopósido en pacientes con CPCP de segunda línea, se han reportado resultados preliminares de eficacia..

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.

IR, EEUU

Ashley R. Robinson
LifeSci Advisors, LLC
+1 617 430 7577
arr@lifesciadvisors.com

IR & Medios, Europa

Mary-Ann Chang
LifeSci Advisors, LLC
+44 7483 284 853
mchang@lifesciadvisors.com

España

Patricia Cobo
/ Carlos C. Ungría
+34 91 564 07 25
pcobo@atrevia.com
cungría@atrevia.com

Oryzon

Emili Torrell
BD Director
+34 93 515 13 13
etorrell@oryzon.com