

## La FDA accorde la désignation de médicament orphelin à OptPA, l'activateur tissulaire du plasminogène optimisé développé par Op2Lysis, pour le traitement de l'hémorragie intracérébrale

Op2Lysis SAS a le plaisir d'annoncer que la Food and Drug Administration (FDA) des États-Unis a accordé la désignation de médicament orphelin à OptPA pour le traitement de l'hémorragie intracérébrale.

La désignation de médicament orphelin à OptPA donne accès à des incitations valorisantes pour le développement d'O2L-001 destiné au traitement des patients ayant subi un événement aigu d'accident vasculaire cérébral (AVC) hémorragique, la forme la plus grave d'AVC et un besoin médical non satisfait.

OptPA est un activateur tissulaire du plasminogène optimisé, qui est nanoprecipité et formulé dans un gel de poloxamère pour produire O2L-001, le premier produit médicamenteux développé par Op2Lysis. Cette nanoformulation est une technologie de rupture qui offre une efficacité accrue d'OptPA.

Le but de ce traitement administré par voie locale est de liquéfier l'hématome intracérébral qui s'est formé à la suite de cette forme d'accident vasculaire cérébral, afin que le sang puisse être facilement retiré par une technique chirurgicale mini-invasive et ainsi de réduire le volume sanguin de l'hématome. Ce type d'intervention a déjà été évalué dans l'essai clinique MISTIE avec un agent thrombolytique commercialement disponible, permettant de démontrer la sécurité de la procédure et fournissant une preuve de concept clinique pour cette technologie, avec une forte association entre la réduction du volume sanguin et le bénéfice clinique qui se traduit par une diminution des décès et des invalidités. Les résultats de l'essai MISTIE ont suscité un très grand espoir pour les patients atteints d'AVC hémorragique. Cependant, le produit testé dans cette précédente étude était insuffisamment efficace pour permettre une démonstration statistique du bénéfice clinique. Les données disponibles avec O2L-001 indiquent son potentiel d'efficacité beaucoup plus élevé pour cette indication thérapeutique.


« La désignation de médicament orphelin par la FDA offre plusieurs avantages stratégiques et constitue une avancée précieuse dans notre programme de développement, qui augmente la valeur de notre projet O2L-001 et favorise son accélération et son succès. Nous recherchons maintenant des investisseurs de série A avec l'ambition de finaliser le stade réglementaire préclinique et de réaliser une étude combinée de phase 1 et 2 chez les patients atteints d'AVC hémorragique. Il existe un potentiel de valorisation élevée après un programme clinique de seulement 2 ans. Cette nouvelle étape confirme l'engagement fort d'Op2Lysis à proposer des solutions uniques pour le traitement des affections vasculaires aiguës graves avec un risque important de mortalité, ou qui sont des besoins médicaux non satisfaits » a déclaré Christophe Gaudin, CEO d'Op2Lysis.

### Pour plus d'informations, veuillez contacter :

Christophe Gaudin, CEO

 [christophe.gaudin@op2lysis.com](mailto:christophe.gaudin@op2lysis.com)

 [www.op2lysis.com](http://www.op2lysis.com) / <https://www.linkedin.com/company/op2lysis>

 +33 (0) 607 979 008

### À propos de la désignation de médicament orphelin

Le programme de désignation de médicament orphelin confère le statut d'orphelin aux médicaments et aux produits biologiques, qui sont définis comme ceux destinés au traitement, au diagnostic ou à la prévention sûrs et efficaces des maladies/troubles rares qui affectent moins de 200 000 personnes aux États-Unis. La désignation de médicament orphelin qualifie les sponsors pour des incitations, y compris des crédits d'impôt pour les essais cliniques, une exonération des frais d'utilisation et une exclusivité commerciale potentielle de sept ans après l'approbation. Plus d'informations sur les maladies rares et le programme de désignation des médicaments orphelins sont disponibles sur <https://www.fda.gov/>.

### A propos d'Op2Lysis – [www.op2lysis.com](http://www.op2lysis.com)



Op2Lysis est une société de biotechnologie franco-belge au stade préclinique qui développe des produits utilisant une technologie de rupture pour assurer la meilleure administration d'agents thrombolytiques et traiter des maladies vasculaires aiguës potentiellement mortelles. Avec son premier médicament, O2L-001, Op2Lysis se consacre au développement du premier traitement médical de l'AVC hémorragique, la forme d'AVC la plus invalidante. Op2Lysis aspire à devenir un leader dans le développement de nouveaux traitements pour les patients souffrant d'affections vasculaires potentiellement mortelles ou représentant des besoins médicaux non satisfaits.

La société est implantée à la fois en France, avec son siège social à Boulogne-Billancourt, près de Paris, et son site de Recherche à Caen, en Normandie, et en Belgique avec sa filiale Op2Lysis Development SA près de Liège en Wallonie, qui est en charge des activités de Développement de la compagnie.

**Op2Lysis SAS** : 117 Avenue Victor Hugo, 92100 Boulogne-Billancourt, France  
and GIP Cyceron, Boulevard Henri Becquerel, 14000 Caen, France

**Op2Lysis Development SA** : Avenue du Parc Industriel 89, 4041 Herstal, Belgique

#### REFERENCE

HANLEY, D. F., ET AL. (2019). "EFFICACY AND SAFETY OF MINIMALLY INVASIVE SURGERY WITH THROMBOLYSIS IN INTRACEREBRAL HAEMORRHAGE EVACUATION (MISTIE III): A RANDOMISED, CONTROLLED, OPEN-LABEL, BLINDED ENDPOINT PHASE 3 TRIAL." LANCET 393(10175): 1021-1032.