

FDA grants Orphan Drug Designation to OptPA, the optimized human tissue-type plasminogen activator developed by Op2Lysis, for treatment of intracerebral hemorrhage

Op2Lysis SAS is pleased to announce that the US Food and Drug Administration (FDA) has granted Orphan Drug Designation to OptPA for treatment of intracerebral hemorrhage.

The Orphan Drug Designation of OptPA provides access to valuable incentives in the development of O2L-001 for the treatment of patients with acute hemorrhagic stroke, the most severe form of stroke and an unmet medical need.

OptPA is a proprietary optimized human tissue-type plasminogen activator, which is nanoprecipitated and formulated in a poloxamer gel to produce O2L-001, the first drug product developed by Op2Lysis. This nanoformulation is a disruptive technology which provides an increased efficacy of OptPA.

The purpose of this locally injected treatment is to liquefy the intracerebral hematoma that has formed following this form of stroke, so that the blood can easily be removed through a minimally invasive surgery technique to reduce hematoma blood volume. This type of intervention has been previously assessed in the MISTIE clinical trial with a commercially available thrombolytic agent, allowing to demonstrate the safety of the procedure and providing a clinical proof of concept for this technology, with a strong association between blood volume reduction and clinical benefit as a decrease in death and disability. The results of the MISTIE trial raised a very high hope for hemorrhagic stroke patients. However, the product tested in this prior study was insufficiently effective to allow statistical demonstration of the clinical benefit. The data available with O2L-001 indicate its potential for a much higher efficacy in this therapeutic indication.


“The orphan drug designation by the FDA offers several strategic advantages and is a valuable step forward in our development program, which enhances our O2L-001 project and promotes its acceleration and success. We are now looking for Series A investors with the ambition to achieve preclinical regulatory stage and perform a combined Phase 1 and 2 study in hemorrhagic stroke patients. There is a potential for high upfront value after a 2-year only clinical program. This new step confirms the strong commitment of Op2Lysis to offer unique solutions for the treatment of serious acute vascular conditions with a significant risk of mortality, or which are unmet medical needs.” said Christophe Gaudin, CEO of Op2Lysis.

For further information, please contact

Christophe Gaudin, CEO

 christophe.gaudin@op2lysis.com

 www.op2lysis.com / <https://www.linkedin.com/company/op2lysis>

 +33 (0) 607 979 008

About Orphan Drug Designation

The Orphan Drug Designation Program provides orphan status to drugs and biologics, which are defined as those intended for the safe and effective treatment, diagnosis or prevention of rare diseases/disorders that affect less than 200,000 people in the US. Orphan Drug Designation qualifies sponsors for incentives, including tax credits for qualified clinical trials, exemption from user fees, and potential seven years of market exclusivity after approval. More information about rare diseases and the Orphan Drug Designation Program is available on <https://www.fda.gov/>.

About Op2Lysis – www.op2lysis.com



Op2Lysis is a French and Belgian preclinical stage biotech company developing products using a disruptive technology to ensure best delivery of thrombolytic agents and address acute life-threatening vascular diseases. With its first drug product, O2L-001, Op2Lysis is dedicated to the development of the first medical treatment of hemorrhagic stroke, the most disabling form of stroke. Op2Lysis aspires to become a Leader in developing new treatments for patients suffering from vascular unmet medical needs or life-threatening conditions.

The company is located both in France, with its headquarter in Boulogne-Billancourt, near Paris, and its Research site in Caen, in Normandy, and in Belgium with its affiliate Op2Lysis Development SA near Liège in Wallonia, which is in charge of Development activities of the company.

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.

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

 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



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.