

The European Commission designates OptPA, the W253R/R275S tissue plasminogen activator developed by Op2Lysis, as an orphan drug for the treatment of non-traumatic spontaneous intracerebral hemorrhage.

Op2Lysis SAS is pleased to announce that the European Commission has granted Orphan Drug Designation to its W253R/R275S tissue plasminogen activator (OptPA) for the treatment of non-traumatic spontaneous intracerebral hemorrhage. The medicinal product is registered in the Community register of orphan medicinal products under number EU/3/22/2666.

To qualify for orphan designation, a medicine must meet a number of criteria with which W253R/R275S tissue plasminogen activator (OptPA) is compliant:

- it must be intended for the treatment, prevention or diagnosis of a disease that is life-threatening or chronically debilitating.
- the prevalence of the condition in the European Union must not be more than 5 in 10,000;
- no satisfactory method of diagnosis, prevention or treatment of the condition concerned can be authorised, or, if such a method exists, the medicine must be of significant benefit to those affected by the condition.

Sponsors who obtain orphan designation benefit from protocol assistance, a type of scientific advice specific for designated orphan medicines, and market exclusivity once the medicine is on the market. Fee reductions are also available depending on the status of the sponsor and the type of service required.

The orphan drug designation for OptPA by the European authorities is a welcome addition to the orphan designation obtained in the USA last year.


“This European orphan designation provides Op2Lysis with valuable new incentives for the development of O2L-001 for the treatment of patients who have suffered hemorrhagic stroke, the most severe form of stroke and an unmet medical need. We continue our search 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, as well as to extend Op2Lysis portfolio with our technology. There is a potential for high upfront value after a 2-year only clinical program. This new achievement reinforces the strategy of Op2Lysis to offer unique solutions for the treatment of cerebrovascular thrombotic diseases, which are unmet medical needs, based on a demonstrated clinical proof of concept for benefit of thrombolytic agents.” 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 OptPA

OptPA is a proprietary optimized human tissue-type plasminogen activator (W253R/R275S tissue plasminogen activator), which is nanoprecipitated and formulated in a gel to produce O2L-001, the first drug product developed by Op2Lysis. This nanoformulation is a disruptive technology (NANOOp2Lysis® technological platform) which provides an increased efficacy of OptPA.

About O2L-001

The purpose of the locally injected O2L-001 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 technic 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 robust clinical proof of concept, for this technology, of a strong association between blood volume reduction and clinical benefit as a decrease in 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.

About Op2Lysis – www.op2lysis.com



Op2Lysis is a French and Belgian preclinical stage biotech company developing products using the NANOOp2Lysis® disruptive technology to ensure best delivery of thrombolytic agents and address cerebrovascular thrombotic 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 hemorrhagic stroke.

The company is located both in France, with its headquarter in Boulogne-Billancourt (Ile-de-France), and its Research site in Caen (Normandy), and in Belgium with its affiliate Op2Lysis Development SA near Liège (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.

[HTTPS://WWW.EMA.EUROPA.EU/EN/HUMAN-REGULATORY/OVERVIEW/ORPHAN-DESIGNATION-OVERVIEW](https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/overview/orphan-designation-overview)

La Commission Européenne désigne l'activateur tissulaire du plasminogène W253R/R275S développé par Op2Lysis comme médicament orphelin pour le traitement de l'hémorragie intracérébrale spontanée non traumatique.

Op2Lysis SAS a le plaisir d'annoncer que la Commission Européenne a accordé la désignation de médicament orphelin à son activateur tissulaire du plasminogène W253R/R275S (OptPA) pour le traitement de l'hémorragie intracérébrale spontanée non traumatique. Le médicament est inscrit au registre communautaire des médicaments orphelins sous le numéro EU/3/22/2666.

Pour bénéficier de la désignation orpheline en Europe, un médicament doit répondre à un certain nombre de critères auxquels répond l'activateur tissulaire du plasminogène W253R/R275S (OptPA) :

- il doit être destiné au traitement, à la prévention ou au diagnostic d'une maladie menaçant le pronostic vital ou chroniquement invalidante ;
- la prévalence de la maladie dans l'Union Européenne ne doit pas être supérieure à 5 pour 10 000 ;
- aucune méthode satisfaisante de diagnostic, de prévention ou de traitement de l'affection concernée ne peut être autorisée ou, si une telle méthode existe, le médicament doit apporter un bénéfice significatif aux personnes atteintes de l'affection.

Les Sponsors qui obtiennent la désignation orpheline en Europe bénéficient d'un « protocole assistance », un type d'avis scientifique spécifique aux médicaments orphelins, et d'une exclusivité commerciale une fois le médicament mis sur le marché. Des réductions de frais sont également disponibles en fonction du statut du Sponsor et du type de service requis.

La désignation de médicament orphelin à OptPA par les autorités européennes vient compléter la désignation orpheline obtenue aux USA l'an dernier.

« Cette désignation orpheline Européenne apporte à Op2Lysis une nouvelle traction pour le développement d'O2L-001 destiné au traitement des patients ayant subi un accident vasculaire cérébral (AVC) hémorragique, la forme la plus grave d'AVC et un besoin médical non satisfait. Nous continuons notre recherche d'investisseurs de Série A avec l'ambition de finaliser le stade réglementaire préclinique et de réaliser une étude combinée de phase 1 et 2, ainsi que d'étendre notre portfolio sur la base de notre technologie. Il existe un potentiel de valorisation élevée après un programme clinique de seulement 2 ans. Ce nouveau succès renforce la stratégie d'Op2Lysis à proposer des solutions uniques pour le traitement des pathologies thrombotiques cérébrovasculaires, qui sont des besoins médicaux non satisfaits, sur la base de preuves de concept clinique déjà établie pour les agents thrombolytiques » 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 d'OptPA

OptPA est un activateur tissulaire du plasminogène optimisé (portant les mutations W253R/R275S), qui est nanoprecipité et formulé dans un gel pour produire O2L-001, le premier produit développé par Op2Lysis. Cette nanoformulation est une technologie de rupture (plateforme technologique NANOp2Lysis®) qui offre une efficacité accrue d'OptPA.

À propos d'O2L-001

Le but du traitement O2L-001 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 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.

À 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 dans le traitement des pathologies thrombotiques cérébrovasculaires. 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'AVC hémorragique.

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.

[HTTPS://WWW.EMA.EUROPA.EU/EN/HUMAN-REGULATORY/OVERVIEW/ORPHAN-DESIGNATION-OVERVIEW](https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/overview/orphan-designation-overview)