

La FDA accorde le statut de médicament orphelin à OpCT-001 de Bayer

Compte Test - 2026-02-03 16:59:30 - Vu sur pharmacie.ma

La FDA américaine a accordé la désignation de médicament orphelin à OpCT-001, une thérapie cellulaire expérimentale développée par Bayer et sa filiale BlueRock Therapeutics, pour le traitement de la rétinite pigmentaire (RP). Cette pathologie est l'un des troubles rétinien héréditaires les plus fréquents et se caractérise par une dégénérescence progressive des cellules photoréceptrices, conduisant à une perte de vision pouvant aller jusqu'à la cécité.

La désignation de médicament orphelin vise à encourager le développement de traitements destinés aux maladies rares, en offrant notamment des incitations réglementaires et financières aux laboratoires. Dans ce cadre, OpCT-001 bénéficie d'un soutien renforcé pour poursuivre son développement clinique. OpCT-001 repose sur une approche innovante de thérapie cellulaire, dont l'objectif est de restaurer la vision chez les patients atteints de rétinite pigmentaire en remplaçant les cellules photoréceptrices perdues par de nouvelles cellules fonctionnelles au niveau de la rétine. Cette stratégie pourrait représenter une avancée majeure pour une maladie pour laquelle les options thérapeutiques restent très limitées.

Toutefois, OpCT-001 demeure à un stade expérimental. La thérapie n'a encore reçu aucune autorisation de mise sur le marché et son efficacité ainsi que sa sécurité n'ont pas encore été pleinement établies ni évaluées par les autorités réglementaires. Selon Amit Rakhit, directeur médical de BlueRock Therapeutics, OpCT-001 présente un fort potentiel en tant qu'option thérapeutique pour la rétinite pigmentaire et d'autres maladies primaires des photorécepteurs. Bayer et BlueRock ont indiqué leur volonté de poursuivre une collaboration étroite avec la FDA afin de faire progresser le développement clinique de cette thérapie innovante.