



Roca Therapeutics obtient la désignation de médicament orphelin pour la maculopathie radique, reconnue pour la première fois par l'EMA en tant que maladie à part entière

RCT002 est un collyre first-in-class, conçu pour traiter à la fois la néovascularisation résistante et l'inflammation dans cette pathologie de la rétine

Il est destiné aux patients dont la vision baisse après avoir fait une radiothérapie pour traiter un mélanome uvéal, un cancer de la tête et du cou, ou encore une tumeur cérébrale

Le candidat-médicament de l'entreprise devrait entrer en essais cliniques en 2026

Nice, France, le 26 août 2025 – Roca Therapeutics (Roca), qui développe des traitements non-invasifs first-in-class contre des pathologies oculaires graves, annonce aujourd'hui avoir obtenu la désignation de médicament orphelin (ODD - Orphan Drug Designation) de l'Agence européenne des médicaments (EMA - European Medicines Agency). Cette désignation concerne son principal candidat-médicament, le RCT002, pour le traitement de la maculopathie radique. Ce jalon réglementaire est le résultat des importants efforts stratégiques mis en œuvre par Roca pour faire évoluer le statut de la maculopathie radique, qui était classifiée comme complication médicale secondaire. Elle est désormais officiellement reconnue par l'EMA comme une indication clinique à part entière.

La maculopathie radique est une pathologie qui se traduit par une perte de vision qui survient lorsque la rétine est exposée à des radiations. Elle touche généralement les patients qui reçoivent une radiothérapie pour traiter une tumeur oculaire ou périoculaire. Une irradiation accidentelle de l'œil peut également se produire lors du traitement de cancers de la tête et du cou ou du cerveau. A l'heure actuelle, il n'existe aucun traitement standard pour cette pathologie. Des thérapies hors-AMM sont utilisées en routine clinique, avec des résultats non satisfaisants.

Développé en deux ans à partir de la plateforme propriétaire de Roca Therapeutics, le RCT002 est une petite molécule first-in-class sous forme de collyre, qui pourrait changer radicalement la prise en charge de cette pathologie. Le RCT002 a été conçu de façon rationnelle pour offrir un traitement qui soit sûr et qui s'attaque en même temps à la néovascularisation résistante, à l'inflammation, à la fibrose et au stress oxydatif qui caractérisent cette maladie.

« La reconnaissance de la maculopathie radique comme maladie à part entière marque une étape cruciale dans la prise en charge de ces patients. Cela permettra de poser un diagnostic plus tôt, de mettre au point des thérapies ciblées et d'élargir l'accès à des traitements spécifiques pour ces patients dont la vision se détériore après une radiothérapie contre un cancer oculaire, de la tête et du cou, ou du cerveau », ajoute Zaki Sellam, président exécutif de Roca Therapeutics. « Cette désignation orpheline donne accès à une innovation accélérée et à un accompagnement réglementaire, ouvrant ainsi la voie à des investissements dans un domaine thérapeutique où les besoins sont importants et les traitements peu nombreux. »

La société est en cours de levée de fonds afin de financer le premier essai clinique du RCT002, qui devrait débuter en 2026.

A propos du RCT002

Le RCT002 est un candidat-médicament, une petite molécule administrée par voie topique. Il est conçu pour cibler CXCR2 et DRAK1, deux facteurs clés de résistance au traitement dans les maladies de la rétine. En s'attaquant en même temps à l'angiogenèse exacerbée, au stress oxydatif et à l'inflammation chronique causée par les macrophages, le RCT002 permet une nouvelle approche multi-mécanistique, qui se distingue des thérapies anti-VEGF du marché. Le développement du RCT002 s'appuie sur un ensemble de données pharmacologiques translationnelles solides. Son indication principale est la maculopathie radique. Parmi les autres indications possibles, on note l'œdème maculaire diabétique (OMD) et d'autres rétinopathies néovasculaires.

A propos de Roca Therapeutics

Co-fondée en 2021 par une équipe de chercheurs académiques (Université Côte d'Azur/CNRS/Inserm/IRCAN/ICN) et par Landmark BioVentures AG, qui dirige la stratégie corporate et de développement des médicaments, Roca Therapeutics est une société de biotechnologie française qui développe des traitements non-invasifs first-in-class pour des pathologies oculaires graves pour lesquelles les besoins médicaux sont importants.

Roca Therapeutics tire son nom du Rocher de Monaco, la Roca, l'emblématique promontoire qui accueille le Palais princier. Le nom a été choisi par un des cofondateurs, originaire de Monaco, pour refléter à la fois les origines de l'entreprise et son ambitieuse mission de lutte contre les maladies.

La société développe des petites molécules à usage topique basées sur une approche de biologie des systèmes. Ces médicaments ciblent en parallèle des voies pathogènes d'intérêt telles que l'angiogenèse exacerbée, le stress oxydatif et l'inflammation chronique provoquée par les macrophages – qui sont caractéristiques de la résistance aux traitements anti-VEGF standards.

Roca a obtenu le soutien financier et stratégique de 3B Future Health Fund dès son lancement. L'entreprise bénéficie également du soutien d'une large coalition de partenaires institutionnels, dont la SATT Nice Côte d'Azur, Bpifrance, l'Université Côte d'Azur, Eurobiomed, l'incubateur PACA-Est, la Métropole Nice Côte d'Azur, le conseil régional Provence-Alpes-Côte d'Azur et le fonds de développement régional européen FEDER. Ces partenariats stratégiques et ces soutiens financiers reflètent la confiance dans la capacité du RCT002 à redéfinir l'offre thérapeutique pour les maladies de la rétine et positionnent Roca en pionnier de l'innovation en ophtalmologie.

www.roca-therapeutics.org

Contact presse et analystes

Andrew Lloyd & Associates

Céline Gonzalez – Juliette Schmitt

celine@ala.associates / juliette@ala.associates

FR: +33 1 56 54 07 00
