**Fuente original:** [**https://nanostherapeutics.com/2025/07/14/nanoscope-therapeutics-initiates-rolling-submission-of-biologics-license-application-to-fda-for-mco-010-the-first-gene-agnostic-therapy-to-treat-retinitis-pigmentosa/**](https://nanostherapeutics.com/2025/07/14/nanoscope-therapeutics-initiates-rolling-submission-of-biologics-license-application-to-fda-for-mco-010-the-first-gene-agnostic-therapy-to-treat-retinitis-pigmentosa/)

**Nanoscope Therapeutics inicia la presentación continua de la Solicitud de Licencia Biológica (BLA) ante la FDA para MCO-010, la primera terapia independiente del gen para tratar la retinosis pigmentaria**

**Los primeros módulos de la BLA fueron presentados a la FDA bajo revisión continua, con la presentación completa prevista para principios de 2026**
**La BLA de MCO-010 para retinosis pigmentaria es elegible para revisión prioritaria gracias a su designación de vía rápida**
**Si se aprueba, MCO-010 podría convertirse en el estándar de tratamiento para la retinosis pigmentaria, administrado mediante una única inyección intravítrea en el consultorio, con la capacidad de restaurar la visión en pacientes con pérdida visual severa, sin importar su mutación genética subyacente**

**DALLAS, TX, 14 de julio de 2025** – Nanoscope Therapeutics Inc., una empresa de biotecnología dedicada al desarrollo y comercialización de terapias novedosas independientes del gen para pacientes con pérdida severa de visión causada por enfermedades degenerativas de la retina, anunció hoy el inicio de la presentación continua de una Solicitud de Licencia Biológica (BLA) ante la Administración de Alimentos y Medicamentos de los EE. UU. (FDA) para su principal terapia en investigación, MCO-010, destinada al tratamiento de la pérdida severa de visión causada por la retinosis pigmentaria (RP).

Este hito representa un avance regulatorio importante, ya que se trata de la primera BLA presentada para una terapia génica independiente del gen dirigida a enfermedades retinianas. Ser independiente del gen significa que MCO-010 está diseñada para abordar la amplia diversidad genética de la RP —una condición vinculada a más de 100 genes conocidos y más de 1,000 mutaciones distintas— sin importar la mutación específica.

La FDA ha otorgado a Nanoscope la revisión continua de su BLA, con los primeros módulos ya presentados y la presentación completa prevista para principios de 2026. La solicitud es elegible para revisión prioritaria gracias a su designación de vía rápida.

Si se aprueba, MCO-010 sería la primera terapia independiente del gen capaz de restaurar la visión en pacientes legalmente ciegos por RP, lo que no solo representaría una oportunidad de mercado significativa, sino que, más importante aún, podría establecerse como el estándar de atención para pacientes con pérdida visual por RP.

**“Por primera vez, los pacientes que están en camino hacia la ceguera permanente podrían tener una oportunidad de recuperar la vista”,** afirmó Sulagna Bhattacharya, directora ejecutiva y cofundadora de Nanoscope. **“Estamos profundamente agradecidos con la FDA por su orientación mientras seguimos firmes en nuestra misión de restaurar la visión y devolver la luz a la vida de quienes viven en la oscuridad.”**

MCO-010, la opsina de características múltiples (MCO) patentada por Nanoscope, se administra mediante una única inyección intravítrea en el consultorio. Tras la inyección, MCO-010 activa las células bipolares densamente distribuidas en la retina para que se vuelvan sensibles a la luz, utilizando el circuito visual restante tras la muerte de los fotorreceptores. MCO-010 está diseñada para ofrecer un enfoque distinto, ya que no requiere pruebas genéticas, cirugía ni dosis repetidas, lo que la hace aplicable a una amplia población de pacientes con RP y fácilmente integrable en los flujos de trabajo actuales de las clínicas oftalmológicas.

**“Hemos estado trabajando en la plataforma MCO por más de una década,”** añadió Samarendra Mohanty, PhD, presidente, director científico y cofundador de Nanoscope. **“Hemos visto que esta terapia en investigación supera nuestras expectativas tanto en el laboratorio como en pacientes durante los ensayos clínicos, y creemos que ahora estamos un paso más cerca de hacer llegar esta terapia pionera a todos los pacientes con RP.”**

La RP es una de las principales causas de ceguera en la población en edad laboral en EE. UU., afectando a más de 100,000 personas y dejando legalmente ciegas a más de 25,000. La pérdida visual debida a RP depende en gran medida de la mutación subyacente, y, en promedio, los pacientes pierden una línea de visión en la cartilla óptica cada tres años, siendo la mayoría legalmente ciegos (visión peor que 20/200) antes de los 60 años.

**“Uno de los aspectos más difíciles de toda mi carrera ha sido decirles a los pacientes con RP que no existe un tratamiento restaurador disponible, mientras enfrentan una pérdida progresiva, irreversible y permanente de la visión,”** dijo el Dr. Allen C. Ho, MD, director de investigación de retina en el Hospital Wills Eye y asesor médico principal de Nanoscope. **“Basado en la ciencia preclínica y la evidencia en ensayos clínicos, MCO-010 representa un cambio de paradigma potencialmente importante para pacientes y especialistas en retina, ofreciendo esperanza de una mejora significativa en la calidad de vida para los pacientes más necesitados.”**

En el ensayo pivotal RESTORE de Fase 2b de Nanoscope, MCO-010 alcanzó los criterios de valoración primarios de Agudeza Visual Mejor Corregida en ambos grupos de dosis a las 52 semanas frente a placebo, con mejoras desde la línea de base de >0.3 LogMAR, lo que equivale a tres o más líneas en una cartilla óptica. En el seguimiento a largo plazo en curso, se han observado mejoras de agudeza visual hasta los 3 años, sin efectos adversos graves reportados en los ojos tratados. Se prevé un seguimiento adicional de varios años con estos pacientes para evaluar la eficacia y seguridad a largo plazo.

**“Es la primera vez que la FDA evaluará una solicitud para una terapia independiente del gen para una enfermedad retiniana hereditaria,”** concluyó Glenn Sblendorio, presidente del Consejo de Administración de Nanoscope. **“Nos sentimos confiados en nuestros datos clínicos, que creemos marcarán el inicio de una nueva era en el cuidado retiniano. Nuestro objetivo es devolver la luz de la esperanza a los pacientes con RP —y, eventualmente, a muchos otros con enfermedades degenerativas de la retina.”**

**Para más información sobre MCO-010 y Nanoscope Therapeutics visita:**
[www.nanostherapeutics.com](http://www.nanostherapeutics.com)

**Acerca de Nanoscope Therapeutics**

Nanoscope Therapeutics está desarrollando terapias optogenéticas independientes del gen para restaurar la visión de millones de pacientes afectados por enfermedades degenerativas de la retina. Tras los resultados positivos del ensayo RESTORE Fase 2b multicéntrico, aleatorizado, doble enmascarado y controlado con placebo para la retinosis pigmentaria (RP) (NCT04945772), se ha iniciado una presentación continua de BLA ante la FDA. Si se aprueba, MCO-010 podría convertirse en el estándar de tratamiento para pacientes con RP, administrado mediante una única inyección en el consultorio, sin necesidad de pruebas genéticas. La compañía también ha mostrado resultados prometedores en el ensayo clínico STARLIGHT de Fase 2 con MCO-010 en la enfermedad de Stargardt (SD) (NCT05417126) y planea iniciar un ensayo de registro de Fase 3 en 2025. MCO-010 ha recibido designaciones de vía rápida y medicamento huérfano por parte de la FDA para RP y SD. Los programas preclínicos incluyen amaurosis congénita de Leber (LCA), en estudios preparatorios para IND, así como un tratamiento listo para IND para atrofia geográfica (GA).

**Contacto:**
Nanoscope Therapeutics
(817) 857-1186
PR@nanostherapeutics.com