

Complexité des essais cliniques dans l'AF - Dr Isabelle Husson
Neuropédiatre à l'hôpital Robert Debré

-Août 2018-

A l'heure actuelle, aucun traitement n'est possible pour les patients souffrant d'une AF même s'il existe des pistes très prometteuses de thérapie en recherche chez l'animal actuellement. Tester l'efficacité d'une potentielle thérapie chez l'homme est méthodologiquement complexe dans l'AF. Plusieurs difficultés ont émergé des essais thérapeutiques déjà effectués ou en cours.

Chez les participants de ces essais, on peut noter :

- La **variabilité** de leur âge, de l'âge de début des symptômes, de l'expression clinique, de la durée d'évolution de la maladie et de la vitesse d'évolution du handicap.
- **La rareté de l'AF** freine la possibilité d'inclure un grand nombre de patients dans les essais, ce qui a toujours entraîné jusqu'à présent des résultats non significatifs, même si certains résultats ont été considérés comme potentiellement prometteurs.
- **La durée des essais** : beaucoup d'experts s'accordent également pour dire que les essais cliniques futurs devront être menés sur des **périodes d'au moins deux ans**.
- **Les échelles cliniques** utilisées pour évaluer l'évolution de la maladie et donc l'efficacité potentielle d'une thérapeutique sont intéressantes mais restent des outils subjectifs et donc d'une fiabilité relative, parfois incapables de détecter des modifications subtiles de l'évolution de la maladie sur un temps limité.
- **L'effet psychologique placebo** qu'entraîne l'inclusion dans un essai thérapeutique chez un patient est important même et surtout dans cette maladie rare dégénérative et incurable. Cet effet placebo entrave également l'interprétation des résultats d'autant plus que l'efficacité attendue de la molécule testée n'est pas rapidement majeure et/ou n'entraîne pas une réversibilité totale des symptômes.

- **La diversité des prises en charge symptomatiques** des patients : facteur moins connu qui influe sur l'évolution naturelle de la maladie et donc a aussi un impact dans l'interprétation des résultats d'un essai.