

Essai européen Nicotinamide dans l'AF - *Madeleine Schmeder*

Avril 2017

L'objectif de l'étude NICOFA est d'évaluer l'efficacité du nicotinamide dans l'AF. Le Nicotinamide est une molécule déjà existante (une forme de vitamine B3).

Dans l'ataxie de Friedrich, la répétition du triplet GAA dans le gène concerné induit une « condensation » de l'ADN au niveau de ce gène. Cette condensation de l'ADN provoque une baisse de la production de frataxine qui pourrait être contrée par l'action du nicotinamide. Le nicotinamide a déjà été utilisé dans la prévention du diabète chez plus de 250 individus sur une durée de 5 ans et présente un profil de sécurité et de toxicité satisfaisant.

En 2014, un premier essai clinique a eu lieu avec le Pr Festenstein de l'Imperial Collège de Londres et avec le Pr Paola Giunti. Des doses progressives de nicotinamide avait été administrées aux patients pendant 8 semaines. Résultat : augmentation de la frataxine sans effet secondaire notable.

Cette étude européenne sera menée sous l'autorité des centres hospitaliers universitaires publics de 7 pays, et non de laboratoires pharmaceutiques.

- Autriche : Université d'Innsbruck et Pr Boesch
- France : ICM Paris et Pr Alexandra Durr
- Allemagne : université de médecine de Munich et Pr Klopstock
- Italie : Fondation IRCCN Milan et Pr Mariotti
- Espagne : Hôpital La Paz Madrid et Pr Javier

Partenaires associés non bénéficiaires de fonds européens :

- Londres : Imperial College London et Pr Festenstein

Le projet a été accepté par les instances européennes en décembre 2016 et sera financé à hauteur de 1 700 000 €.

Nombre de patients à enrôler dans cet essai européen : **180 au total**, 25 pour la Pitié Salpêtrière, dont une grande partie est déjà incluse dans EFACTS. Le déroulement de l'essai est prévu sur une durée de 36 mois.

Le CA de l'AFAF s'est engagé à participer à cette étude avec une subvention de 25.000 € qui seront utilisés, à la demande de l'équipe française (Pr A.Dürr de la Pitié Salpêtrière), pour réaliser des IRM médullaires. Cette approche non invasive fournira des informations complémentaires sur les changements microstructuraux dans l'ataxie de Friedreich. Elle permettra également d'évaluer la progression de la maladie et l'efficacité du traitement.