

Le point sur EFACTS en décembre 2019 - Madeleine Schméder

Rappel : EFACTS = Consortium européen pour des études translationnelles de l'ataxie de Friedreich, dirigé par le Pr Massimo Pandolfo.

Ce consortium européen de recherches fondamentales et cliniques a été créé en 2010 avec des fonds européens, puis des financements d'un laboratoire privé ainsi que des subventions d'associations de patients dont l'AFAF, pour contribuer à développer et tester des thérapies contre l'AF. EFACTS a ainsi pu établir un **réseau de 13 centres cliniques** pour réaliser une banque européenne de données scientifiques de personnes atteintes d'AF. Celle-ci contient des informations cliniques sur l'histoire naturelle de la maladie sur plusieurs années, ainsi que des prélèvements biologiques pour établir et étudier les marqueurs les plus pertinents de la maladie. Toutes ces données récoltées selon un protocole rigoureux et identique sont analysées pour apporter des informations essentielles et une infrastructure scientifique pour les futurs essais cliniques.

Fin 2019, la base de données EFACTS avait enregistré **949 patients AF et 66 sujets témoins répartis sur les 13 centres européens dont Paris**. Récemment l'effort a porté sur l'intégration de patients mineurs (7% de la base de données). Le bon niveau d'assiduité des patients est nécessaire pour préserver la valeur de la base de données EFACTS.

Le recueil des échantillons biologiques a dû être interrompu dans certains centres faute de financement depuis 2013. Il devrait reprendre en fonction de l'obtention de nouveaux fonds. Les données des 4 premières années sont maintenant entièrement contrôlées et en cours d'analyse, ce qui fera l'objet d'un prochain article.

Cependant certains patients dont les données sont collectées par EFACTS participent déjà aux essais cliniques européens en cours ou à venir. Leur implication est déterminée par les spécialistes qui les suivent dans ce cadre.

✓ **EFACTS et financement :**

Le contrat de partenariat avec le laboratoire pharmaceutique *Voyager Therapeutics* se poursuit au moins jusqu'en 2021. Les subventions des associations de patients n'ayant pas vocation à être pérennes, la recherche de financements complémentaires est toujours en cours (laboratoires, mécènes...).