

- **Les essais dans l'Ataxie de Friedreich-Madeleine Schmeder**

Traduit à partir du site de FARA - [www.curefa.org/pipeline](http://www.curefa.org/pipeline)

L'association américaine FARA (Friedreich Ataxia Research Alliance) publie régulièrement sur son site ce qu'elle appelle le « FARA Treatment Pipeline », un tableau graphique représentant l'avancement de la recherche et des essais de traitement de l'Ataxie de Friedreich. Ce tableau permet de visualiser les progrès de la recherche et le développement des principales thérapies testées.

Sur l'axe vertical, les tests sont regroupés par **mécanismes d'action** ou par type d'approche thérapeutique (c'est-à-dire où et/ou comment chaque médicament va agir dans la cellule), par approche technologique ou selon le problème à traiter.

De haut en bas : diminution du stress oxydatif et/ou augmentation de la fonction mitochondriale ; action sur le métabolisme du contrôle de la frataxine ; stabilisateurs, activateurs et substituts de la frataxine ; accroissement du gène de l'AF ; thérapies géniques ; découverte de nouveaux médicaments.

L'axe horizontal indique l'**avancement de la recherche**, depuis, tout à gauche, la découverte, puis le développement préclinique (les tests en laboratoire), l'autorisation de mener les tests sur les humains, et les différentes phases : phase I, tests d'innocuité sur les humains ; phase II, tests d'innocuité et efficacité sur les malades ; phase III, essais définitifs ; phase IV, autorisation de mise sur le marché ; phase V, disponibilité pour tous les malades.

Les deux premières étapes, découverte et essais précliniques se déroulent au sein des laboratoires. L'étape administrative (phase IV) est, dans tous les pays, indispensable pour le démarrage des essais sur les humains.

Après avoir testé avec succès l'innocuité et l'efficacité du produit et fourni suffisamment de preuves du bénéfice apporté aux malades, l'autorisation de mise sur le marché (AMM) est demandée aux autorités compétentes pour que le médicament soit disponible en pharmacie.

FARA, ainsi que les associations de malades comme l'AFAF et bien d'autres, contribuent à l'avancement des recherches et essais en apportant des ressources financières, un soutien médiatique et en encourageant les coopérations. En effet, FARA pense que ce sera sous forme d'un « cocktail » de thérapies, de la combinaison de plusieurs traitements qu'on arrivera à un traitement efficace.

Ce tableau a été mis à jour par FARA en juillet 2015 et concerne les médicaments qui sont déjà à un stade de développement préclinique ou prêts à

être expérimentés sur les humains. Les dernières découvertes en matière de recherche se trouvent au bas du tableau et ne représentent qu'une petite partie des recherches actuelles en vue d'identifier et de développer de nouvelles thérapies.

Certains médicaments ne figurent plus dans le tableau car nous savons malheureusement que certains produits testés n'ont pas donné les résultats efficaces attendus. C'est pourquoi l'EPI-A0001, la pioglitazone, l'idebenone, la deferiprone, l'EPO carboamylée Lu AA24493, la Varenicline (Champix), l'Egb-761 ont été retirés de la liste.