

## **Un essai clinique avec EPI-743 - FARA USA**

*Traduction de Claudie Baleyrier*

Le 15 Novembre 2012, FARA, Friedreich's Ataxia Research Alliance (USA), a annoncé les derniers préparatifs pour la phase 2B de l'essai clinique EPI-743 dans l'ataxie de Friedreich. **Cet essai sera multicentrique, avec placebo, pour une période de 6 mois, suivie d'une phase d'extension de 6 mois où tous les patients recevront de l'EPI-743.**

**EPI-743** (alpha-tocotrienol quinone) est une petite molécule à absorption orale qui **vis**e l'amélioration du fonctionnement mitochondrial. Elle a reçu le statut de médicament orphelin aux USA et en Europe et a été administrée à plus de 120 malades atteints de diverses maladies mitochondriales avec plus de 50000 traitements quotidiens sans aucun effet secondaire grave. Des résultats récents ont été publiés pour une maladie mitochondriale : le syndrome de Leigh avec des résultats encourageants.

L'étude s'intitule : « **Innocuité et efficacité d'EPI-743 sur la fonction visuelle des patients atteints d'Ataxie de Friedreich** ». Le critère d'évaluation primaire est la fonction visuelle avec des critères secondaires incluant les fonctions neurologique et neuromusculaire et des biomarqueurs pertinents pour la maladie.

Le sponsor de l'essai est le laboratoire pharmaceutique Edison.inc et l'investigateur principal est le **Dr Theresa Zesiewicz de l'université de Tampa, Floride du Sud**. Les investigateurs associés sont le **Dr David Lynch de l'hôpital d'enfants de Philadelphie** et le **Dr Susan Perlman de l'Université de Californie à Los Angeles**.

Le recrutement doit commencer dans les 45 prochains jours. Les détails concernant les critères d'éligibilité seront disponibles sur le site internet de FARA, [www.curefa.org/registry](http://www.curefa.org/registry), le site [www.ClinicalTrials.gov](http://www.ClinicalTrials.gov) et [www.health.usf.edu/medicine/neurology/ataxia](http://www.health.usf.edu/medicine/neurology/ataxia).

Nov. 2012- AFAF



Source : Medical News- babelfamily.org

## Un essai avec EPI 473 - nov 2013

Edison Pharmaceuticals a annoncé aujourd'hui l'initiation d'une étude de phase 2B appelée **«Étude Sécurité et Efficacité de l'EPI-473 sur les fonctions visuelles des patients atteints d'ataxie de Friedreich»**

L'essai est une étude contrôlée contre placebo qui durera six mois, suivi d'une phase supplémentaire au cours de laquelle tous les patients recevront du EPI-743. Les patients devront avoir entre 18 et 45 ans, être atteints génétiquement par l'ataxie de Friedreich et répondre à certains critères de sévérité de la maladie. Le point final primaire de cet essai est la fonction visuelle, avec des points finaux secondaires qui incluent la fonction neurologique et neuromusculaire et les biomarqueurs de la maladie en question. Plus d'informations sur les spécificités de l'étude se trouvent sur [ClinicalTrials.gov](http://ClinicalTrials.gov).

Cet essai est conduit avec l'aide de chercheurs du Réseau de Recherche Clinique de l'Alliance de Recherche sur l'ataxie de Friedreich (FARA) et le Registre des Patients de FARA.

«FARA est enthousiaste à l'idée du commencement de l'essai clinique de EPI-743 pour l'ataxie de Friedreich, et travaille en étroite collaboration avec Edison Pharmaceuticals et les chercheurs du Réseau de Recherche Clinique pour accélérer les inscriptions, » affirme Ronald Bartek, Président de FARA. «Cet essai symbolise l'importance des partenariats public-privé dans le développement de médicaments et l'apogée des recherches translationnelles sponsorisées par FARA, initiées à la fois par FARA et le soutien des Instituts Nationaux pour la Santé (NIH).»

Trois sites pour cet essai clinique ont été sélectionnés aux Etats-Unis: à l'Université de Floride du Sud, Tampa, Floride ; à l'Hôpital des Enfants de Philadelphie, Pennsylvanie ; et à l'Université de Californie, Los Angeles, Californie. Les inscriptions ont été lancées à l'Université de Floride du Sud «Vu les découvertes cliniques encourageantes à la date d'aujourd'hui concernant l'EPI-743 pour les maladies mitochondriales, nous avons hâte de déterminer si ces résultats pourront être obtenus pour l'ataxie de Friedreich, » affirme Theresa A. Zesiewicz, MD, chercheuse du Réseau de Recherches Clinique FARA, Professeure en Neurologie, Directrice du Centre de Recherches sur l'ataxie à l'Université de Floride du Sud et un des principaux chercheurs de l'essai.