

Septembre 2021

Essai Move-FA avec la vatiquinone

Christian Ouedraogo, assistant de recherche clinique à l'ICM

L'étude MOVE-FA vient de débiter à l'ICM (Institut du Cerveau et de la Moëlle épinière-Hôpital Pitié-Salpêtrière). Cette étude a pour **objectif de tester la sécurité et l'efficacité de la vatiquinone pour les personnes atteintes de l'ataxie de Friedreich.**

La vatiquinone, reprise sous le nom de PTC-743 dans le « pipeline recherche » de FARA, vise à améliorer la fonction mitochondriale et cellulaire en régulant le stress oxydatif et la mort cellulaire programmée (connue sous le nom de ferroptose), qui sont impliqués dans des maladies du système nerveux central comme l'ataxie de Friedreich.

Move-FA est une étude multicentrique internationale avec un seul centre en France, l'Institut du Cerveau à Paris. Coordonnée par le Pr Alexandra Dürr cette étude inclut 10 patients en France (**126 patients dans le monde**).

Les principaux critères d'inclusion sont les suivants (liste non exhaustive) :

- âge de 7 ans à 21 ans (d'un point de vue logistique, l'ICM ne pourra inclure que des patients âgés de 12 ans minimum)
- score mFARS ≥ 20 à ≤ 70
- capable de marcher au moins 3 mètres en une minute avec ou sans assistance (autre que fauteuil roulant)
- fraction d'éjection cardiaque ≥ 50 %
- pouvoir avaler des gélules (le traitement se présente sous forme de gélule à avaler 3 fois par jour lors des repas).

Le protocole a prévu une visite de sélection avant l'inclusion pour vérifier certains paramètres biologiques, les traitements concomitants et les antécédents médicaux.



La durée de participation est de **2 ans avec une visite tous les 3 mois (9 visites)** comprenant les procédures suivantes : examen neurologique, prise de sang à jeun, évaluation de la parole et questionnaires de qualités de vie, ECG et échographie cardiaque (selon les visites).

Les inclusions ont été faites de fin juin à fin septembre 2021 à l'ICM.