

Les essais cliniques dans le monde - Juliette Dieusaert - Janvier 2021

- **Les pistes thérapeutiques en 2021** : atelier visio du samedi 19 décembre 2020 sur la base du symposium FARA, animé par le Pr Massimo Pandolfo, suivi par plus de 60 personnes, et enregistré.
A retrouver en intégralité sur <https://youtu.be/j2cvjYmFuq0>.

Voir aussi sur le site de FARA tous les essais ou pistes en cours sur <https://curefa.org/pipeline>

- **Essais en cours ou en projet à la Pitié-Salpêtrière :**

Source : réunion du Centre de Référence Neuro Génétique du 27/11/2020

- **Frames** : mai 2019 à sept 2020 - 9 patients en Fr. - résultats encourageants pour passer à la phase 3. Voir le communiqué du laboratoire Mynorix du 15 décembre.
- **SpeechAtax** : sept 2020 - sept 2021, recrutement terminé. Essai contrôlé randomisé de réadaptation vocale intensive à domicile dans l'ataxie de Friedreich (inclusions en cours)
Objectifs : Augmenter l'intelligibilité des patients et Valider le 1er outil de rééducation orthophonique dans l'AF
Inclusion de 40 patients dont 15 patients français (8 inclus) - Durée de participation : 3 ou 4 mois avec 1 visite/mois
Période d'inclusion : de septembre à mai 2021 - 45 min par jour d'exercices orthophonique sur tablette pendant 4 semaines + Suivi téléphonique hebdomadaire avec un orthophoniste
- **Nicofa** : début espéré juin 2021 (beaucoup d'obstacles administratifs de divers pays) - 15 patients en France - 24 mois
Etude multicentrique randomisée, en parallèle, en double aveugle, contrôlée par placebo, visant à évaluer l'innocuité et l'efficacité du nicotinamide dans le traitement de l'ataxie de Friedreich (inclusions à venir).

- **Essai FRAMES, laboratoire Minoryx Therapeutics**

Octobre 2020 : Minoryx Therapeutics reçoit le **soutien financier de la Banque Européenne d'Investissement (BEI)** de 25 millions d'euros. Les investissements de la BEI soutiendront spécifiquement le développement du **leriglitazone** (agoniste sélectif du PPAR γ) actuellement évalué dans l'AF (cf Espoir n° 161 p 9).

15 décembre 2020, communiqué de Minoryx : Les premiers résultats de l'étude phase II permettent d'envisager **une étude en phase III**. Objectif principal de l'essai : évaluer l'effet du candidat médicament sur la progression de la maladie. « *Les résultats sont encourageants* » Pr Alexandra Durr. Communiqué intégral à retrouver sur www.minoryx.com

- **Essai MOXIe, laboratoire REATA**

24 novembre 2020, communiqué de REATA : la Food and Drug Administration (FDA) des États-Unis a examiné les résultats de l'étude contrôlée de base sur l'omaveloxolone en phase 2 et demande des analyses exploratoires supplémentaires. Des échanges ont lieu entre la FDA REATA et FARA pour apporter ces données manquantes le plus vite possible.

Voir le communiqué : <https://is.gd/R94esz>

- **Essai Vatiquinone, PTC Therapeutics**

Le 30 novembre 2020, PTC Therapeutics a annoncé le lancement d'un essai clinique mondial de phase 3 MOVE-FA en 2021 avec la vatiquinone (PTC743) chez 110 enfants et les jeunes adultes AF. Etude de 18 mois, avec placebo.

La Vatiquinone est un antioxydant. Critère principal d'évaluation : amélioration de l'échelle d'évaluation (mFARS), avec des critères d'évaluation secondaires sur la marche et les activités de la vie quotidienne. L'essai inclura des sites en USA, Europe, Australie et Amérique latine.

En France, PTC nous a informés qu'ils avaient déjà contacté plusieurs médecins de CHU (qu'ils connaissent pour des essais antérieurs) et devrait nous donner des informations plus précises mi-janvier. A suivre !

- **Thérapie génique** : une dizaine de laboratoires s'y attèlent actuellement. S'il y a encore des questionnements importants à régler (voies d'injection, dose, etc.), certains pensent déjà au recrutement en 2021 pour préparer les essais dans les 3 ou 5 ans. Voir ce qu'en dit le Pr Pandolfo dans la visio du 19 décembre.