

## Les essais dans l'Ataxie de Friedreich - « Treatment Pipeline » - *Madeleine Schmeder*

- Mars 2020 -

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

Il s'agit d'un tableau que l'association américaine FARA (US) (Friedreich Ataxia Research Alliance) publie régulièrement sur son site et qu'elle appelle le « FARA Treatment Pipeline ». C'est un graphique permettant de visualiser les progrès de la recherche et le développement des principales thérapies testées aux USA comme dans le monde.

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

De haut en bas :

- en rouge, diminuer le stress oxydatif et/ou augmenter la fonction mitochondriale;
- en bleu, agir sur le métabolisme du contrôle de la frataxine ;
- en jaune, stabiliser, activer ou remplacer de la frataxine ;
- en vert, accroître l'expression du gène de l'Ataxie de Friedreich ;
- en orange, thérapie génique ;
- en bleu ciel, thérapie par les cellules-souches.

L'axe horizontal indique l'**avancement de la recherche** (de gauche à droite) :

- découverte des thérapies/médicaments potentiels en laboratoire,
- puis le développement pré-clinique (les tests en laboratoire),
- la demande d'autorisation de mener les tests sur les humains,
- et les différentes phases des études et essais cliniques :
  - o phase I, tests d'innocuité sur les humains ;
  - o phase II, tests d'innocuité et d'efficacité sur les malades ;
  - o phase III, essais définitifs ;
- demande d'autorisation de mise sur le marché ;
- disponibilité pour tous les malades.

Les recherches actuelles (mars 2020) et ceux qui les mènent :

- en rouge : Omaveloxolone (RTA 408) par le laboratoire Reata ; PTC-743 par PTC Therapeutics ; RT 001 (dPUFAs) par Retrotope ; (+) Epicatechin par Epirium Bio.
- en bleu : MIN 102 par Minorix Therapeutics ; Dimethyl Fumarate par le laboratoire Ixchel et l'université Federico II de Naples.
- en jaune : CTI-1601 (TAT-Frataxine) par Chondrial Therapeutics ; EPO-mimetics par STATegics ; concurrents de l'Ubiquitine par Fratagene Therapeutics ; Etravirine par Fratagene Therapeutics.
- en vert : BMN 290 / HDACi par Biomarin ; Resveratrol par Jupiter Therapeutics et l'Institut de Recherche Pédiatrique Murdoch, Australie ; Nicotinamide par E-Rare et la Fondation pour le Recherche allemande ; recherche basée sur l'ARN par l'Université de Texas Sud-Ouest et l'Université de Massachusetts ; Syn-TEFS par Design Therapeutics.
- en orange : recherches basées sur le vecteur AAV par les laboratoires Adverum, Bamboo/Pfizer, PTC Therapeutics, Voyager/Neurocrine, l'Institut IGBMC de Strasbourg et l'Université de Floride.
- en bleu ciel : une thérapie basée sur la cytokine / GCSF par l'Université de Bristol (UK).

Ce tableau est mis à jour régulièrement par FARA et concerne les médicaments qui sont déjà à un stade de développement pré-clinique ou prêts à être expérimentés sur les humains.

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, il est probable que ce sera sous forme d'un « cocktail » de thérapies, de la combinaison de plusieurs traitements qu'on aboutira à un traitement efficace.