



© AFM/Gildas Debaussart

Essai de phase III pour l'ataxie de Friedreich

En Europe, l'idébénone, un médicament administré par voie orale, va faire l'objet d'un essai de phase III chez des patients affectés par l'ataxie de Friedreich, une maladie neuromusculaire qui se traduit par des atteintes neurologiques, une cardiomyopathie et parfois du diabète. Schématiquement, l'idébédone aurait une action anti-oxydante, c'est-à-dire qu'elle permettrait de neutraliser de petites molécules nuisibles pour les cellules, appelées «radicaux

libres», libérées par les mitochondries. Depuis 2001, cette molécule bénéficie du statut de médicament orphelin délivré par l'Agence européenne du médicament (EMA). Et, depuis août dernier, son développement fait l'objet d'un accord entre les sociétés japonaise Takeda Pharmaceutical et suisse Santhera Pharmaceuticals. Rappelons que l'AFM a soutenu les premiers travaux de recherche sur l'ataxie de Friedreich, avec l'identification du gène à l'origine de la maladie

en 1996, puis la découverte, un an après, du mécanisme biologique en cause (un déficit de protéines conduisant à une accumulation anormale de fer dans les mitochondries, qui elle-même entraîne l'apparition de ces «radicaux libres»). Enfin, en 1999, un premier essai clinique mené par une équipe de l'unité Inserm hôpital Necker-enfants malades (Pr Arnold Munnich), basé sur l'administration de l'idébénone avait débouché sur des résultats prometteurs. ■