



Chers amis,

J'aimerais ici vous faire un court état des lieux des progrès réalisés dans la mise en place de l'essai clinique que je coordonne sur le syndrome de Wolfram. J'ai le plaisir de vous annoncer que nous avons enfin pu avancer sur plusieurs points.

La première étape franchie est l'approbation par les autorités réglementaires de la mise en place de l'essai clinique. Le protocole, les feuilles d'information aux patients, les formulaires de consentement et d'autres documents nécessaires ont tous été approuvés.

La deuxième étape franchie est l'obtention des données de stabilité. Peut-être vous souvenez-vous qu'on nous a demandé de démontrer que le médicament que nous souhaitons utiliser est stable au moins 12 mois hors de l'emballage du fabricant. Ceci a occasionné un an de retard dans le démarrage de l'essai. En effet, nos partenaires pharmaceutiques ont rencontré de grandes difficultés techniques pour dissoudre les comprimés, extraire le principe actif et montrer qu'il n'était pas dégradé. Une partie du problème est que les comprimés étaient enrobés dans une substance qui empêchait la réalisation des tests. J'ai le plaisir de dire qu'après de nombreuses modifications à leur protocole, nos partenaires ont pu dissoudre les comprimés complètement et procéder aux tests. Ils ont pu étudier la stabilité du médicament qui a été conservé dans des flacons spéciaux pendant 12 mois. C'est avec soulagement que nous avons pu constater que les tests sont positifs. Les méthodes utilisées sont en cours de validation pour satisfaire aux standards réglementaires. Ensuite, les tests seront reproduits, avant que nous ayons l'autorisation de procéder à la fabrication du médicament et du placebo.

La troisième étape est le recrutement des patients. **Le problème de la stabilité du médicament a occasionné un délai de 12 mois dans ce recrutement.** Je sais que c'est extrêmement frustrant pour vous, et ça l'est pour nous aussi. Nous essayons de rester en contact étroit avec les associations de malades et les consultations pluridisciplinaires afin de vous tenir informés. Nous savons que vous nous aiderez en participant quand l'essai démarrera. Nos équipes cliniques, nos investigateurs et les infirmières travaillent dur pour être prêts lorsque le médicament et le placebo seront disponibles.

La quatrième étape est la mise en place de l'essai à l'international. Nos collègues de France, de Pologne et d'Espagne sont fantastiques, et nous travaillons avec leurs centres de coordination nationaux pour que les recrutements démarrent dans leurs pays rapidement après le lancement de l'essai au Royaume-Uni. Cela nous permettra peut-être de rattraper un peu du temps perdu.

J'espère que ces informations vous aident. J'enverrai un autre état des lieux prochainement.

Très cordialement,

Professeur Timothy Barrett
Université de Birmingham, Royaume-Uni
Juillet 2018