

LES ESSAIS, en cours ou à venir, soutenus par l'AFM-Téléthon en 2017

MALADIES		TYPE DE THÉRAPIE	PRODUIT	PHASE
MALADIES NEUROMUSCULAIRES	Amyotrophie spinale proximale liée au gène <i>SMN1</i>	P	Olésoxime	Extension de la phase II/III*
		TG	AAV-SMN	Dév. préclinique
	Dystrophie musculaire de Duchenne	P	Nebivolol	Phase III
		P	Riméporide	Phase Ib
		TG	AAV-U7	Dév. préclinique
		TG	Oligonucléotides antisens morpholinos (saut d'exon 53)	Phase I/II*
		TG	AAV-microdystrophine	Dév. préclinique
	Dystrophie musculaire des ceintures de type 2I (LGMD2I)	TG	AAV-FKRP	Dév. préclinique
	Dystrophie musculaire oculopharyngée (DMOP)	TC	Myoblastes	Phase II
	Dystrophie myotonique de Steinert	P	Metformine	Extension de la phase II
	Maladie de Charcot-Marie-Tooth	P	PXT3003	Phase III*
		P	IFB-088	Dév. préclinique
Myopathie myotubulaire	TG	AAV-MTM	Phase I/II	
Myosite à inclusions	P	Rapamycine	Phase IIIb	
Myotonies non dystrophiques	P	Méxilétiline	Phase III terminée	

AUTRES MALADIES RARES	Anémie de Fanconi		TG	Cellules hématopoïétiques + LV-FANCA	Phase I/II*
	Ataxie de Friedreich		TG	AAV-FXN	Dév. préclinique
	Déficits immunitaires	Déficit en Artemis	TG	Cellules hématopoïétiques + LV-Artemis	Dév. préclinique
		Déficit immunitaire combiné sévère lié à l'X	TG	Cellules hématopoïétiques + LV-XSCID	Dév. préclinique
		Granulomatose chronique	TG	Cellules hématopoïétiques + LV-CGD	Phase I/II
		Syndrome de Wiskott-Aldrich	TG	Cellules hématopoïétiques + LV-WAS	Phase I/II
	Infarctus du myocarde		TC	Cellules souches embryonnaires	Phase I/II
	Lupus érythémateux disséminé		TC	Cellules souches mésenchymateuses	Dév. préclinique
	Maladie de Crigler-Najjar		TG	AAV-UGT1A1	Dév. préclinique
	Maladie de Huntington		TC	Cellules souches embryonnaires	Dév. préclinique
	Maladie de Sanfilippo (MPS III b)		TG	AAV-NaGlu	Extension de la phase I/II
	Pathologies de la rétine	Amaurose de Leber	TG	AAV-RPE65	Phase I/II terminée
		Neuropathie optique de Leber	TG	AAV-ND4	Phase III*
		Rétinites pigmentaires	TC	Cellules souches embryonnaires	Dév. préclinique
	TG		AAV-RdCVF	Dév. préclinique	
Sclérose en plaques		TC	Lymphocytes T cytotoxiques	Phase I	
Syndrome de Phelan-McDermid (forme rare d'autisme génétique)		P	Lithium	Étude pilote	
Ulcères cutanés de la drépanocytose		TC	Cellules souches embryonnaires	Dév. préclinique	

TG Thérapie du gène

TC Thérapie cellulaire

P Pharmacologie

* Financement AFM-Téléthon du développement préclinique ou des phases cliniques précédentes.