

# MÉDICAMENTS, en développement ou mis sur le marché avec le soutien de l'AFM-Téléthon

MALADIES NEUROMUSCULAIRES	MALADIES	TYPE DE THÉRAPIE	PRODUIT	PHASE
	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 terminée
		TG	Oligonucléotides antisens morpholinos (sauts d'exon 53 et 45)	Phase III*
		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	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 IIb terminée	
Myotonies non dystrophiques	P	Méxilétiline	Phase III terminée	

L'AFM-Téléthon a soutenu et soutient 11 bases de données de recherche qui collectent les données médicales de près de 16 500 de personnes atteintes de maladie neuro-musculaire.

AUTRES MALADIES RARES	MALADIES		TYPE DE THÉRAPIE	PRODUIT	PHASE
	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	Phase I/II*
		Déficit en adénosine désaminase	TG	Strimvelis	AMM Europe*
		Granulomatose chronique	TG	Cellules hématopoïétiques + LV-CGD	Phase I/II
		Syndrome de Wiskott-Aldrich	TG	Cellules hématopoïétiques + LV-WAS	Phase I/II
	Épidermolyse bulleuse jonctionnelle		TG	Cellules souches embryonnaires modifiées génétiquement	Étude pilote*
	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	Phase I/II
	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	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	

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

TG Thérapie du gène

TC Thérapie cellulaire

P Pharmacologie