

# MÉDICAMENTS développés avec le soutien de l'AFM-Téléthon

## Essais cliniques en cours ou à venir

MALADIES	TYPE DE THÉRAPIE	PRODUIT	PHASE
Amyotrophie spinale avec épilepsie myoclonique progressive (SMA-PME) et Maladie de Farber	TG	AAV-ASAH1	Dév. Préclinique
Dystrophie musculaire de Duchenne	P	Nebivolol	Phase III
	P	Riméporide	Phase Ib terminée
	TG	AAV-microdystrophine	Phase I/II/III
	P	BIO101	Phase I/II
	P	Tamoxifène	Phase III*
Dystrophie musculaire des ceintures R1 liée à la calpaïne (ex-LGMD2A)	TG	AAV-CAPN3	Dév. préclinique
Dystrophie musculaire des ceintures R3 liée à l' $\alpha$ -sarcoglycane	P	Givinostat	Dév. préclinique
Dystrophie musculaire des ceintures R5 liée au $\gamma$ -sarcoglycane	TG	AAV-SGCG	Dév. préclinique
	P	Givinostat	Dév. préclinique
Dystrophie musculaire des ceintures R9 liée à FKRP	TG	AAV-FKRP	Dév. préclinique
Dystrophie musculaire oculopharyngée (DMOP)	TC	Myoblastes	Phase II
Dystrophie myotonique de type 1 (Maladie de Steinert)	TG	AAV-MBNLΔ	Dév. préclinique
Glycogénose de type 3 (Maladie de Cori-Forbes)	TG	AAV-GDE	Dév. préclinique
Maladie de Charcot-Marie-Tooth	P	PXT3003	Phase III*
	P	IFB-088	Phase I
Maladie de Pompe	TG	AAV-GAA	Phase I/II
Myopathies centronucléaires	TG	DYN101	Phase I/II
Myopathie myotubulaire	TG	AAV-MTM	Phase I/II*
Sarcopénie	P	recGDF5	Dév. préclinique
	TG	AAV-SOD1	Dév. préclinique
	TG	AAV-C9	Dév. préclinique
Sclérose latérale amyotrophique	TG	AAV-C9	Dév. préclinique
	P	Interleukine 2	Phase IIb

MALADIES NEUROMUSCULAIRES

## Médicaments déjà disponibles

**Cuprior®** P  
Maladie de Wilson

**Firdapse®** P  
Syndrome de Lambert-Eaton

**Lumevoq®** TG  
Neuropathie optique de Leber

**Namuscla®** P  
Syndromes myotoniques

**Metformine** P  
Dystrophie myotonique de Steinert

**Skysona®** TG  
Adrénoleucodystrophie

**Strimvelis®** TG  
Déficit immunitaire combiné sévère lié à l'X

**Zynteglo®** TG  
 $\beta$ -thalassémie

**Zolgensma®** TG  
Amyotrophie spinale liée à SMN1

MALADIES	TYPE DE THÉRAPIE	PRODUIT	PHASE
Anémie de Fanconi	TG	Cellules hématopoïétiques + LV-FANCA	Phase I/II*
Déficits immunitaires	TG	Cellules hématopoïétiques + LV-Artemis	Dév. préclinique
	TG	Cellules hématopoïétiques + LV-XSCID	Phase I/II*
	TG	Cellules hématopoïétiques + LV-CGD	Phase I/II
	TG	Cellules hématopoïétiques + LV-WAS	Étude de suivi sur 15 ans
Drépanocytose	TG	Cellules hématopoïétiques + Drepaglobe	Phase I/II
Épidermolyse bulleuse dystrophique	TG	Cellules cutanées autologues modifiées génétiquement	Phase I/II*
Épidermolyse bulleuse jonctionnelle	TG	Cellules cutanées autologues modifiées génétiquement	Étude pilote*
Lupus érythémateux disséminé	TC	Cellules souches mésenchymateuses	Phase I/II
Maladie de Crigler-Najjar	TG	AAV-UGT1A1	Phase I/II
Maladie de Sanfilippo (MPS III b)	TG	AAV-NaGlu	Phase I/II
Rétinites pigmentaires	TC	Cellules souches embryonnaires	Phase I/II
	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	Phase I/II
Syndrome de Wolfram	P	Acide valproïque	Phase II
Ulcères cutanés de la drépanocytose	TC	Cellules souches embryonnaires	Dév. préclinique

AUTRES MALADIES

## Bases de données

L'AFM-Telethon soutient **10 bases de données** de recherche qui collectent les données médicales de près de 14 500 de personnes atteintes de maladie neuro-musculaire.

TG Thérapie du gène

TC Thérapie cellulaire

P Pharmacologie

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